



RMTC

REGISTRE MONDIAL DES TROUBLES
DE LA COAGULATION DE LA FMH

REGISTRE MONDIAL DES TROUBLES DE LA COAGULATION

RAPPORT SUR LES
DONNÉES 2021



WFH

WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOFILIE
FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA

TABLE DES MATIÈRES

À PROPOS DE LA FMH	2
Notre mission	2
Sources des données	2
Remerciements	2
MESSAGE DU PRÉSIDENT ET DU VP MÉDICAL	3
À PROPOS DU RMTC	4
LA MÉTHODOLOGIE DU RMTC	4
Source des données du rapport	5
Mise en œuvre	5
Comités de protection des personnes/Comité d'éthique	5
Consentement éclairé	5
Collecte des données et consultations de suivi	5
Données du RMTC	5
Identifiant patient unique	5
Transfert de patients	5
Programme d'intégration des données internationales	5
Qualité des données	6
Programmes de soutien et de formation des CTH	6
Accès aux données et gouvernance	6
Confidentialité des données	6
À PROPOS DU RAPPORT 2021 SUR LES DONNÉES DU RMTC	7
COMITÉ DIRECTEUR DU RMTC	7
REPRÉSENTATION MONDIALE AU SEIN DU RMTC POUR 2021	8
DONNÉES CONTENUES DANS LE RAPPORT 2021 DU RMTC	9
PARTICIPATION	9
Répartition des personnes atteintes d'hémophilie	11

DONNÉES DÉMOGRAPHIQUES	12
Type et sévérité de l'hémophilie	13
Âge des personnes atteintes d'hémophilie inscrites au RMTC	14
DIAGNOSTIC ET ANTÉCÉDENTS CLINIQUES	15
Âge au diagnostic	15
Âge au premier saignement et au premier saignement articulaire	17
COMORBIDITÉS	18
EMPLOI	19
DONNÉES CLINIQUES	20
Saignements	21
Taux de saignements annualisé et taux de saignements annualisé articulaire	22
Articulations cibles	24
Inhibiteurs	25
Hospitalisation	26
TRAITEMENT	29
Utilisation de la prophylaxie	30
PROGRAMME D'ACCREDITATION DE LA QUALITÉ DES DONNÉES DU RMTC	32
PROGRAMME D'INTÉGRATION DES DONNÉES INTERNATIONALES	34
PROGRAMME DE SOUTIEN À LA RECHERCHE DU RMTC	35
PROGRAMME DE FINANCEMENT DES CTH DU RMTC	36
ANNEXE 1 – ENSEMBLE DE DONNÉES	37
ANNEXE 2 – CTH PARTICIPANTS	38
REMERCIEMENTS	40
GLOSSAIRE	41



À PROPOS DE LA FMH

Depuis près de 60 ans, la FMH, organisation internationale à but non lucratif, travaille à l'amélioration de la vie des personnes atteintes d'hémophilie, de la maladie de Willebrand et d'autres troubles héréditaires de la coagulation. Fondée en 1963, elle constitue un réseau d'organisations de patients dans 147 pays et bénéficie de la reconnaissance officielle de l'Organisation mondiale de la Santé (OMS). Pour en savoir plus sur la FMH, consultez le site www.wfh.org.

.....
LA MISSION DE LA FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE

**AMÉLIORER ET RENDRE DURABLES LES SOINS
AUX PERSONNES ATTEINTES D'UN TROUBLE
HÉRÉDIRAIRE DE LA COAGULATION DANS
LE MONDE ENTIER.**

REMERCIEMENTS

Aux membres du département Éducation et recherche de la FMH, qui ont contribué à la création de ce rapport :

- Donna Coffin, MSc
- Emily Ayoub, PhD
- Ellia Tootoonchian, MPH
- Toong Youttanakorn, PhD

MESSAGE DU PRÉSIDENT ET DU VP MÉDICAL

Mai 2022

Chers membres de la communauté des troubles de la coagulation,

Nous sommes ravis de vous présenter le Rapport sur les données 2021 du Registre mondial des troubles de la coagulation (RMTC). Ce rapport synthétise la quatrième année d'un effort international pour représenter de façon prospective l'expérience clinique réelle des personnes atteintes d'hémophilie (PAH) de toute la planète. Nous espérons que ces données permettront de soutenir la recherche et les actions de plaidoyer, et serviront d'outil pour guider les décisions cliniques et améliorer les soins aux personnes atteintes d'hémophilie dans le monde entier.

Nous sommes tout près de notre but : atteindre en 5 ans l'inscription de 10 000 patients dans notre registre. Au 31 décembre 2021, plus de 9000 PAH de 104 centres de traitement de l'hémophilie (CTH) et de 37 pays nous avaient déjà rejoints dans notre objectif de collecter ces précieuses données. Ce rapport vous présente le résumé des données agrégées de toutes les PAH inscrites au RMTC, y compris des données cliniques 2021.

Au cours de l'année écoulée, des efforts continus ont été faits pour élargir la collecte de données via le RMTC. En plus des données issues de la République tchèque, notre Programme d'intégration des données internationales a été appliqué pour l'inclusion des données de 7 CTH de Thaïlande. De plus, une application mobile à destination des patients a été développée, permettant aux PAH de réaliser un suivi de leurs saignements et traitements, et de surveiller les changements dans leur état de santé. L'enregistrement de données rapportées par les patients permettra non seulement aux patients de gérer leurs soins, mais aussi aux professionnels de santé de surveiller les résultats de santé de leurs patients. En 2022, la plateforme du RMTC sera disponible en français, espagnol et russe, ce qui la rendra plus accessible aux utilisateurs du monde entier. Elle sera également configurée pour permettre la collecte de données sur les personnes atteintes de la maladie de Willebrand, pour éclairer la recherche, les politiques et le plaidoyer en faveur de ces populations.

Au nom de la FMH, nous tenons à chaleureusement remercier tous les professionnels de santé et les personnes atteintes d'hémophilie pour leur dévouement et leur participation à cette initiative importante. Nous avons hâte de collaborer avec d'autres CTH souhaitant participer au RMTC pour faire avancer la mission de la FMH du Traitement pour tous.

Nous voulons également adresser nos remerciements à nos partenaires visionnaires nous ayant permis de développer ce registre, Sobi et Takeda, ainsi qu'à nos partenaires collaborateurs Bayer, CSL Behring, F. Hoffmann-La Roche, Grifols, Novo Nordisk, Pfizer et Sanofi Genzyme.

Bien à vous,



Cesar Garrido
Président



Glenn Pierce
Vice-président médical



À PROPOS DU RMTC

Lancé en janvier 2018, le RMTC de la FMH sert de plateforme aux CTH du monde entier pour la collecte de données standardisées sur les PAH. Le RMTC est un registre prospectif, longitudinal et d'observation des patients auxquels on a diagnostiqué une hémophilie A ou B. C'est un système web de saisie de données qui protège la vie privée, et qui permet le recueil de données patient individuelles, fournissant ainsi un profil clinique de chaque PAH.

LE RMTC EST OUVERT À
**TOUTE PERSONNE ATTEINTE D'HÉMOPHILIE
A OU B QUI EST PATIENTE DANS UN CTH
PARTICIPANT.**



MÉTHODOLOGIE DU RMTC

Les CTH participants sont en première ligne du recrutement des PAH et de la saisie des données patient confidentielles et anonymisées dans la base de données du RMTC. La FMH travaille en lien étroit avec tous les CTH intéressés, pour les guider et les assister dans les étapes nécessaires à leur participation au programme, notamment pour obtenir l'approbation d'un Comité de protection des personnes, recruter les PAH et gérer leurs données.

Le RMTC est ouvert à toute personne atteinte d'hémophilie A ou B (tous degrés de sévérité confondus) qui est patiente dans un CTH participant. Les CTH sont invités à proposer à toute personne atteinte d'hémophilie A ou B de leur clinique de s'inscrire au RMTC pour minimiser le risque de biais de sélection. Toutes les PAH qui acceptent de participer doivent donner leur consentement éclairé.

SOURCE DES DONNÉES DU RAPPORT

Les données présentées dans le Rapport sur les données 2021 du RMTC sont constituées de données agrégées et anonymisées issues de PAH recevant des soins dans un centre de traitement de l'hémophilie (CTH) participant, ayant accepté que leurs données soient saisies dans le Registre mondial des troubles de la coagulation (RMTC).

MISE EN ŒUVRE

La mise en œuvre du RMTC commence dans les CTH. Les CTH candidats sont identifiés avec l'aide de nos organisations nationales membres (ONM), puis invités à s'enregistrer au sein du RMTC, directement par l'intermédiaire de l'équipe du RMTC. Les CTH intéressés peuvent contacter l'équipe du RMTC à l'adresse wbd@wfh.org. L'équipe reste à la disposition des CTH pour les aider à obtenir l'approbation éthique de leur organisation locale.

COMITÉ DE PROTECTION DES PERSONNES/COMITÉ D'ÉTHIQUE

Les centres de traitement de l'hémophilie doivent obtenir l'approbation d'un comité de protection des personnes ou d'un comité d'éthique de leur institution locale avant d'inscrire des PAH au RMTC. Tous les documents relatifs au RMTC requis pour une évaluation éthique sont fournis aux CTH; des versions traduites sont disponibles sur demande.

CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

Les personnes atteintes d'hémophilie qui souhaitent participer au RMTC doivent être patientes d'un CTH participant et doivent fournir leur consentement éclairé à la saisie de leurs données confidentielles et anonymisées dans le registre. Si une PAH décide de ne pas participer, elle doit continuer à recevoir le même standard de soins que toutes les autres PAH du CTH. Pour les PAH participant au RMTC, l'équipe de soins du CTH entrera dans le RMTC les données patient après chacune de leurs consultations.

COLLECTE DES DONNÉES ET CONSULTATIONS DE SUIVI

Les données patient sont recueillies au moment de la consultation de référence (au cours de laquelle la PAH donne son consentement éclairé) et de toutes les consultations suivantes à la clinique. Lors de la consultation de référence, des données rétrospectives basées sur les six mois précédents sont recueillies. Lors de chacune des consultations de suivi, des données sur la période écoulée depuis la consultation précédente sont recueillies. Cette méthode assure que toutes les données et tous les événements sont bien enregistrés.

DONNÉES DU RMTC

Au moment du lancement du RMTC en 2018, un ensemble minimal de données a été introduit. En février 2019, un ensemble élargi de données (EED) a été développé et implémenté. Les données du présent rapport sont basées à la fois sur des ensembles minimaux et élargis de données (cf. annexe 1).

IDENTIFIANT PATIENT UNIQUE

Grâce à l'utilisation d'un processus de hachage cryptographique, toutes les PAH entrées dans le RMTC reçoivent un identifiant patient unique (IPU). L'UPI réduit le risque d'une saisie de doublons dans le RMTC et sera utile pour faire le lien avec d'autres bases de données à l'avenir. Pour en savoir plus sur l'UPI et le processus cryptographique, veuillez consulter [le document sur la confidentialité et la sécurité des données](#).

TRANSFERT DE PATIENTS

Les patients peuvent être transférés d'un CTH participant à un autre dans le RMTC. Cette fonction de transfert est très utile dans les pays où les PAH reçoivent des soins dans plusieurs CTH.

PROGRAMME D'INTÉGRATION DES DONNÉES INTERNATIONALES

Le RMTC comprend un composant d'intégration de données internationales, qui permet aux registres existants de l'hémophilie d'importer leurs données directement dans le RMTC et de faire ainsi partie de ce registre international.

Pour en savoir plus, voir page 34.



QUALITÉ DES DONNÉES

Le programme d'accréditation de la qualité des données du RMTC vise à améliorer l'exhaustivité, la précision et la cohérence des données saisies dans le RMTC. L'équipe du RMTC travaille en étroite collaboration avec tous les CTH pour assurer que leurs données répondent aux standards de qualité du RMTC.

Pour en savoir plus sur le programme de qualité des données du RMTC, voir page 32.

PROGRAMMES DE SOUTIEN ET DE FORMATION DES CTH

Le programme de soutien et de formation des CTH du RMTC est accessible à tous les CTH participants; cela comprend le Programme de soutien à la recherche et le Programme de financement des CTH. Ces programmes ont été développés pour assurer la réussite du RMTC à long terme. Des formations en présentiel ou en webinaire sont disponibles sur les sujets suivants :

- Le processus d'évaluation éthique
- L'obtention du consentement éclairé
- La saisie de données
- La gestion de la qualité des données
- L'utilisation efficace de données pour la recherche et le plaidoyer

ACCÈS AUX DONNÉES ET GOUVERNANCE

Chaque CTH a uniquement accès aux données qu'il a saisies dans le RMTC, et ne peut pas voir celles saisies par les autres CTH. Chaque année, les données agrégées de tous les CTH participants sont publiées dans le Rapport sur les données du RMTC. L'accès aux données à des fins de recherche et de plaidoyer sera possible via le comité de gouvernance de la recherche du RMTC.

CONFIDENTIALITÉ DES DONNÉES

La base de données du RMTC a été élaborée grâce aux efforts communs de la FMH, du Karolinska Institute et de Health Solutions – ces deux derniers étant des organisations basées en Suède. Toutes les informations sur les patients saisies dans le RMTC sont anonymisées et confidentielles. Les recommandations de Health Solutions relatives à la politique sur les données sont conformes aux dispositions européennes (marquage CE, Conformité Européenne) et à la norme du Royaume-Uni IG Soc (Information Governance Statement of Compliance), et respectent le Règlement général sur la protection des données. Pour en savoir plus, consultez [le document sur la confidentialité et la sécurité des données.](#)

À PROPOS DU RAPPORT SUR LES DONNÉES 2021 DU RMTC

Les données de cette quatrième édition du Rapport sur les données du RMTC regroupent des données patient recueillies entre la date de lancement du 26 janvier 2018 et le 31 décembre 2021. Ces données proviennent de 104 CTH participants (cf. annexe 2), qui représentent 37 pays différents, ayant reçu l'approbation de comités de protection des personnes et ayant inscrit au moins une PAH au sein du RMTC au 31 décembre 2021.

Au moment de la publication de ce Rapport sur les données (mai 2022), 6 autres CTH participent désormais au RMTC, portant le total des participants à 110 CTH et 39 pays.

Veuillez noter que lorsque la date limite des données pour ce rapport a été atteinte (soit le 31 décembre 2021), il est possible que toutes les PAH éligibles des CTH participants n'aient pas encore été inscrites au RMTC. Ainsi, les données présentées dans ce rapport peuvent ne pas être représentatives de la totalité de la population de patients de chaque CTH, ce qui limite les possibilités de généralisation. À mesure que la proportion de PAH inscrites au RMTC des CTH participants s'accroît, les données reflèteront de plus en plus fidèlement la population de patients de chaque CTH.

Les données 2021 du RMTC sont rapportées grâce à l'utilisation d'une distribution des fréquences et de pourcentages pour les données catégorielles, et de médianes accompagnées des quartiles 1 et 3, notés (Q1 – Q3), et/ou de marges pour les variables continues.

COMITÉ DIRECTEUR DU RMTC DE LA FMH

La FMH tient à remercier le comité directeur actuel du RMTC pour son dévouement au développement et à la mise en œuvre du Registre :

- Dr Alfonso Iorio (PhD), coprésident
- Dr Catherine Lambert (PhD), coprésidente
- Dr Barbara Konkle
- Dr Saliou Diop
- Dr Cedric Hermans (PhD)
- Declan Noone (MSc)
- Jamie O'Hara (MSc)
- Dr Glenn Pierce (PhD), vice-président de la FMH en charge des affaires médicales
- Cesar Garrido, président de la FMH

REPRÉSENTATION MONDIALE AU SEIN DU RMTC, 2021

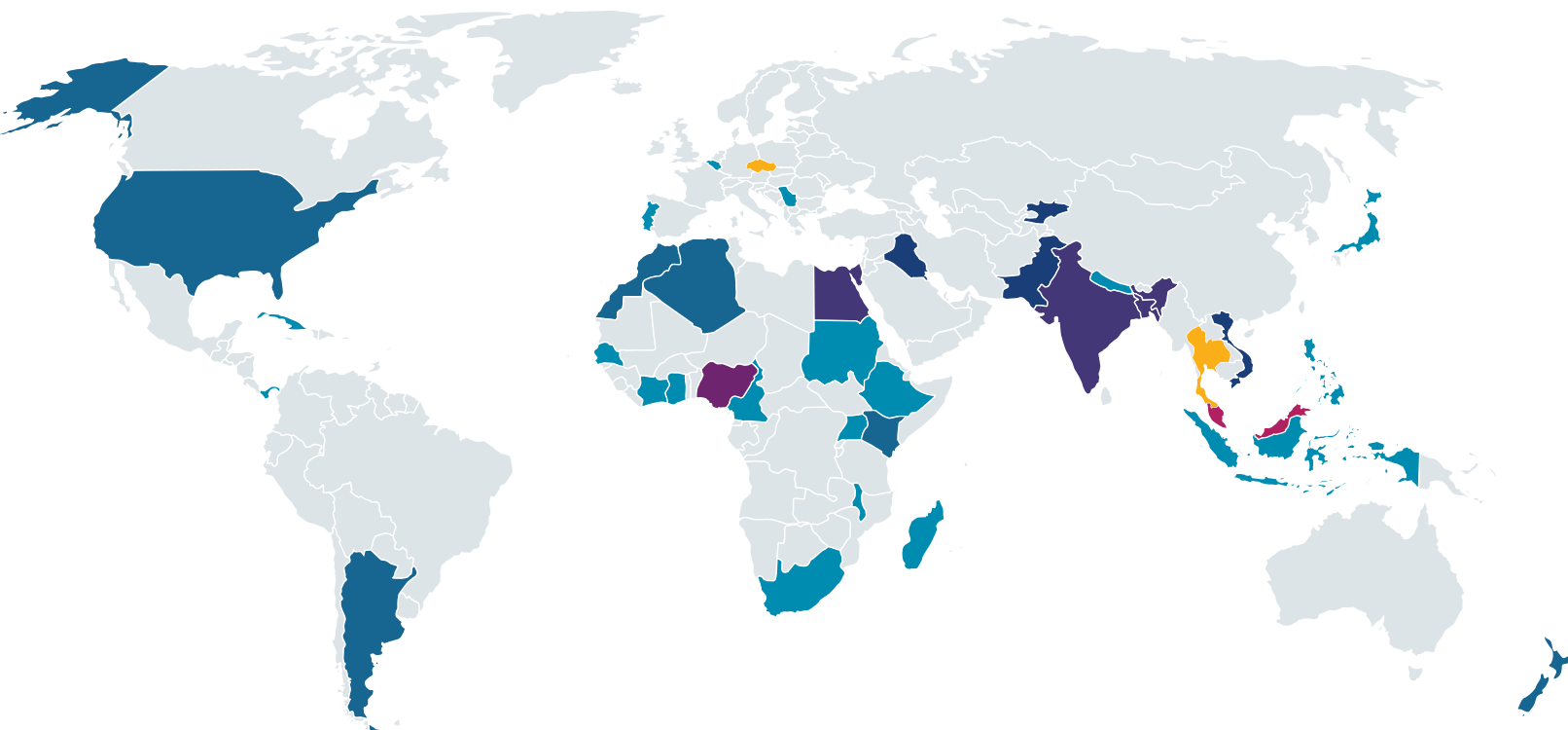


Figure 1

PAYS ET CTH PARTICIPANT AU RMTC

Nombre de CTH par pays



● Intégration des données

Pour une liste complète des CTH,
voir annexe 2

Afrique du Sud.....	1	Malaisie.....	13
Algérie.....	2	Malawi.....	1
Argentine.....	2	Maroc.....	2
Bangladesh.....	5	Népal.....	1
Barbade (La).....	1	Nigeria.....	7
Belgique.....	1	Nouvelle-Zélande.....	2
Cameroun.....	1	Ouganda.....	1
Côte d'Ivoire.....	1	Pakistan.....	3
Cuba.....	1	Panama.....	1
Égypte.....	4	Philippines.....	1
États-Unis.....	2	Portugal.....	1
Éthiopie.....	1	République tchèque.....	17
Ghana.....	1	Sénégal.....	1
Inde.....	5	Serbie.....	1
Indonésie.....	1	Soudan.....	1
Iraq.....	3	Thaïlande.....	8
Japon.....	1	Vietnam.....	3
Kenya.....	2		
Kirghizistan.....	4		
Madagascar.....	1		

DONNÉES CONTENUES DANS LE RAPPORT 2021 DU RMTC

PARTICIPATION

Entre le mois de janvier 2018 et le 31 décembre 2021, 9 414 PAH ont été inscrites au RMTC, représentant 6 régions du monde, 37 pays et 104 CTH (cf. figures 1 et 2).



TABLEAU 1

Résumé des participations

	Ensemble des PAH	Formes sévères*
Pays, n	37	37
Centres de traitement de l'hémophilie**, n	104	104
Personnes atteintes d'hémophilie, n	9 414	4 686 (50 %)
Répartition des PAH par région†, n (%)		
Afrique	1 027	487 (47 %)
Amériques	354	249 (70 %)
Méditerranée orientale	2 418	1 291 (53 %)
Europe	1 074	426 (40 %)
Asie du Sud-Est	2 828	1 141 (40 %)
Pacifique occidental	1 713	1 092 (64 %)
Répartition des PAH par RNB§, n (%)		
Revenu élevé	1 190	530 (45 %)
Revenu intermédiaire de la tranche supérieure	1 731	1 131 (65 %)
Revenu faible et intermédiaire de la tranche inférieure	6 493	3 025 (47 %)

* Les PAH ayant une forme sévère sont celles présentant un taux de facteur strictement inférieur à 1%.

** Les CTH inclus sont ceux ayant reçu l'approbation d'un Comité de protection des personnes et qui ont enregistré au moins une PAH dans le RMTC au 31 décembre 2021.

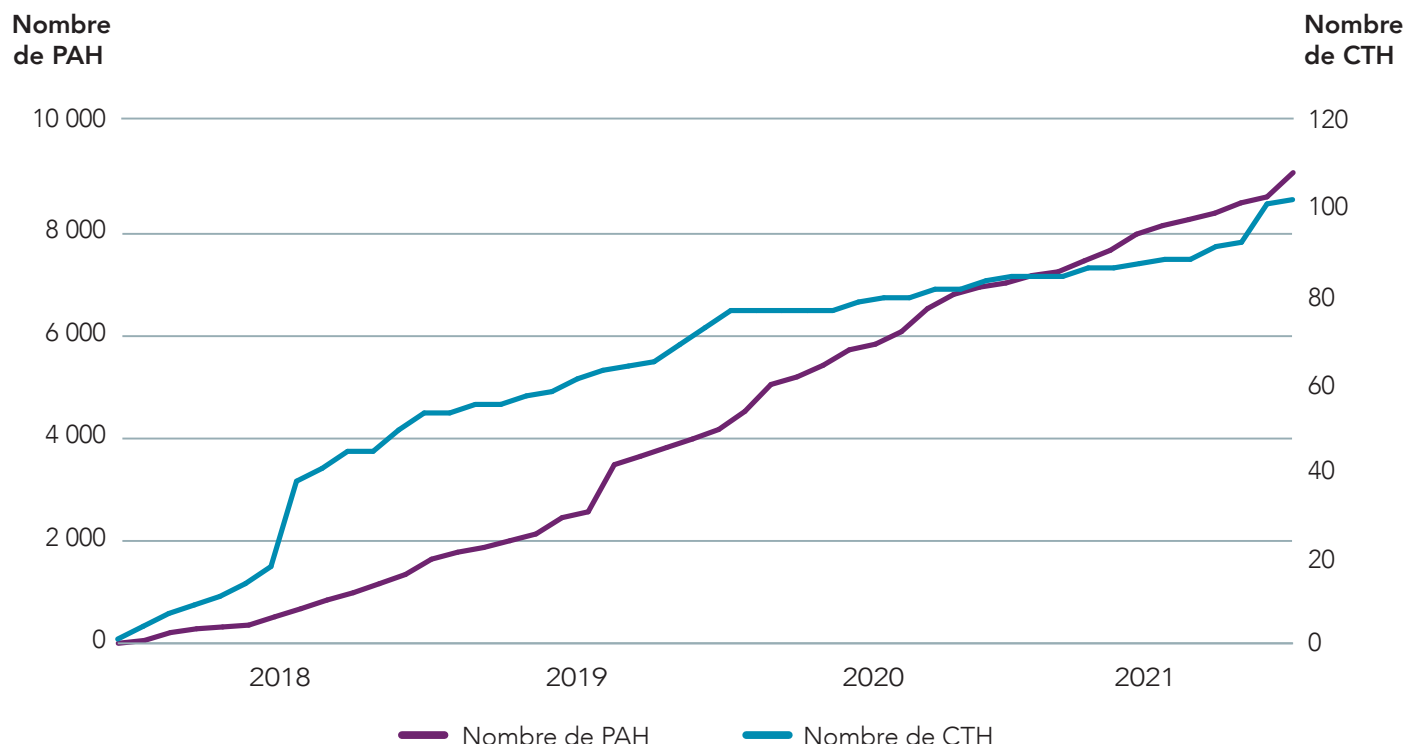
† Régions basées sur les groupements régionaux de l'OMS.¹

§ RNB = Revenu national brut; catégories du RNB basées sur celles de la classification 2020 du groupe de la Banque mondiale intitulée « Revenu national brut (RNB) par tête, méthode Atlas (dollars US courants) »². Les catégories faible revenu (n=295) et revenu intermédiaire de la tranche inférieure (n=6 918) ont été regroupées à cause du faible nombre de patients dans les pays à faible revenu.

Figure 2

PAH et inscription au RMTC

Janvier 2018 – Décembre 2021

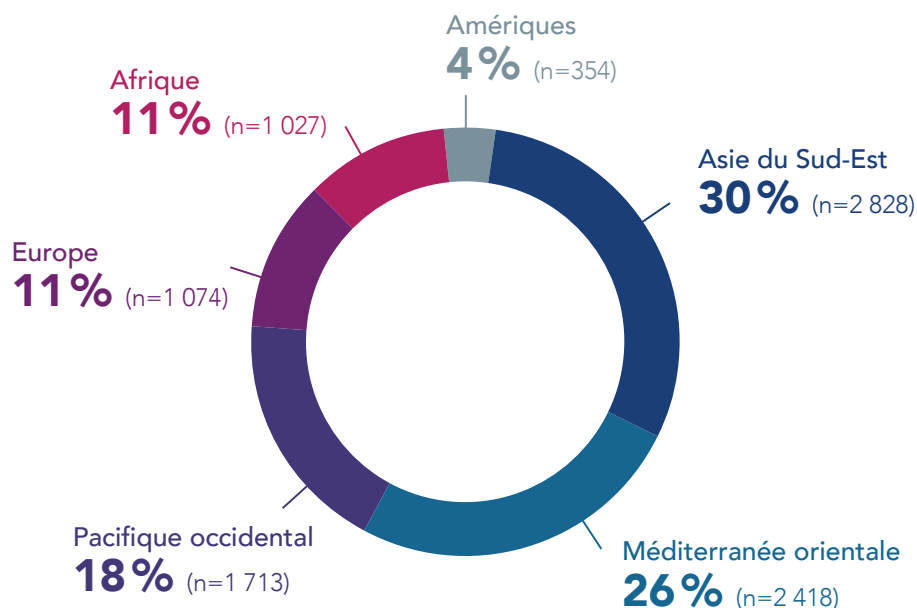


RÉPARTITION DES PAH

La classification régionale utilisée dans le RMTTC est basée sur celle de l'OMS¹. La majorité des PAH se situe en Asie du Sud-Est (Inde, Bangladesh, Népal, Thaïlande, Indonésie) et de la Méditerranée orientale (Pakistan, Iraq, Soudan, Maroc, Égypte, Algérie). Ces deux régions représentent respectivement 30 et 26 % des PAH (cf. figure 3).

Figure 3

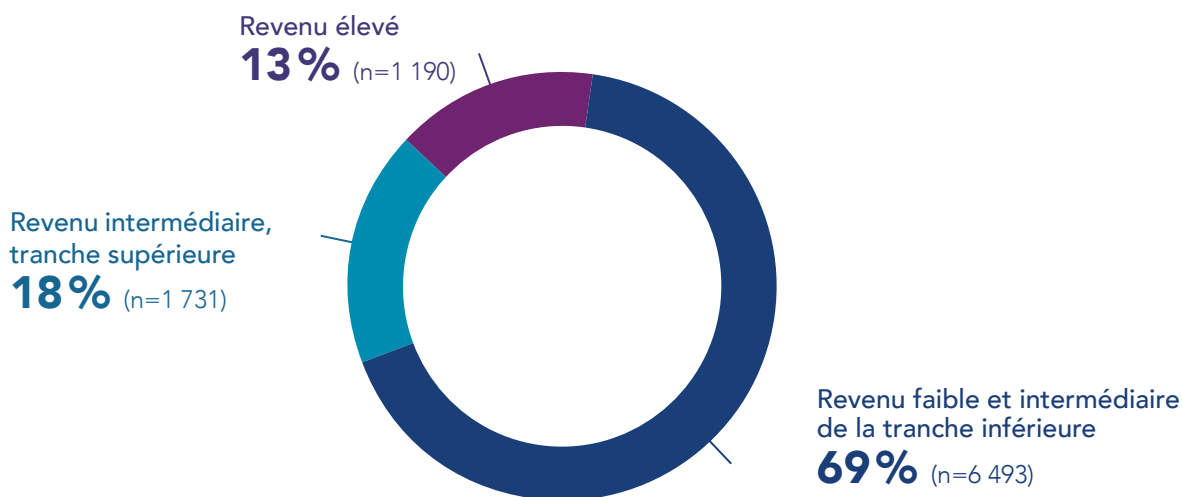
Répartition des PAH par région



La répartition des participants par revenu national brut (RNB) par tête² montre que la majorité des PAH sont issues de pays à faible revenu et revenu intermédiaire de la tranche inférieure (69%); les pays à revenu intermédiaire de la tranche supérieure et à revenu élevé arrivent en deuxième et troisième position, avec respectivement 18 et 13 % des PAH (cf. figure 4).

Figure 4

Répartition des PAH par revenu national brut



DONNÉES DÉMOGRAPHIQUES

TABLEAU 2

Résumé des données démographiques

	Ensemble des PAH (n=9 414)	Formes sévères (n=4 686)
Type d'hémophilie*, n (%)		
Hémophilie A	7 943 (84%)	4 079 (87%)
Hémophilie B	1 428 (15%)	603 (13%)
Sexe, n (%)		
Homme	9 353 (99%)	4 671 (99%)
Femme	60 (<1%)	15 (<1%)
Âge des PAH**		
Âge médian (IQR), en années	21 (11-33)	20 (11-33)
Population pédiatrique (<18 ans), n (%)	4 061 (43%)	2 072 (44%)
Adultes (18 ans), n (%)	5 353 (57%)	2 614 (56%)

IQR = écart interquartile.

* 43 PAH présentaient une hémophilie de type inconnu et ont été exclues de la série.

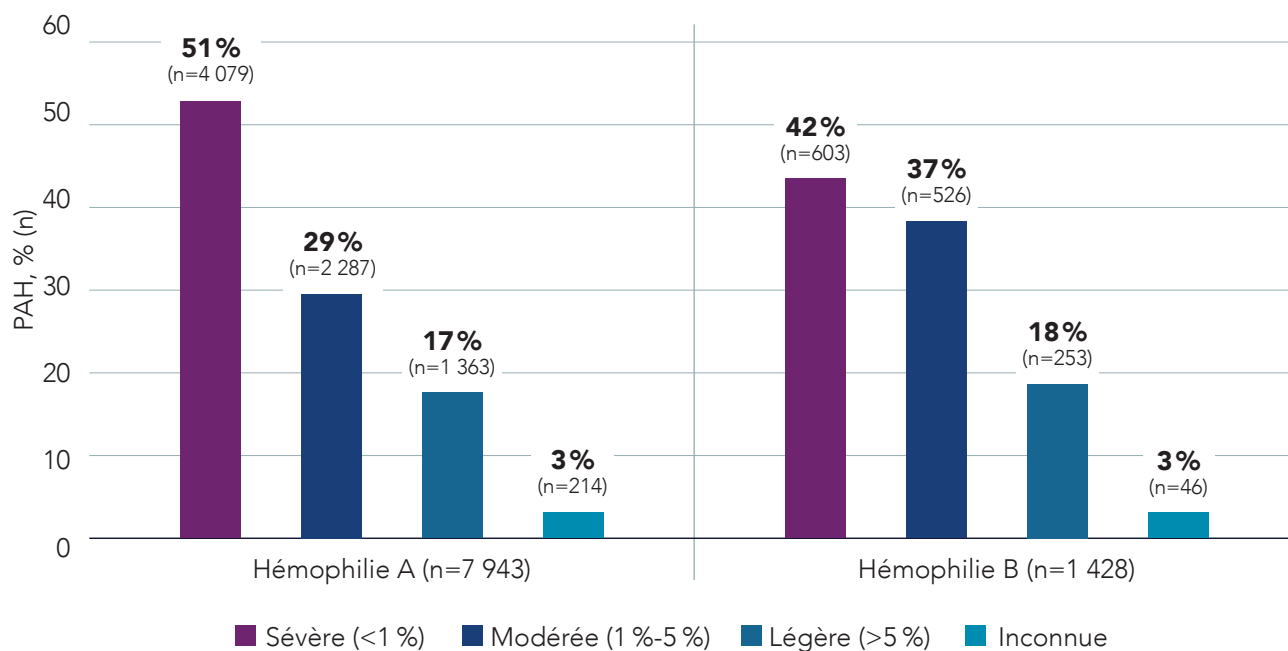
** L'âge des APH a été calculé au 31 décembre 2021.

TYPE ET SÉVÉRITÉ DE L'HÉMOPHILIE

En tout, 99 % (n=9 353) des participants étaient des hommes, 84 % (n=7 943) étaient atteints d'hémophilie A et 15 % (n=1 428) d'hémophilie B (cf. tableau 2). La catégorie de sévérité la plus représentée est « sévère », à la fois pour l'hémophilie A et l'hémophilie B, pour lesquelles elle représente respectivement 51 et 42 % des PAH (cf. figure 5).

Figure 5

Type* et sévérité de l'hémophilie, en % (n)



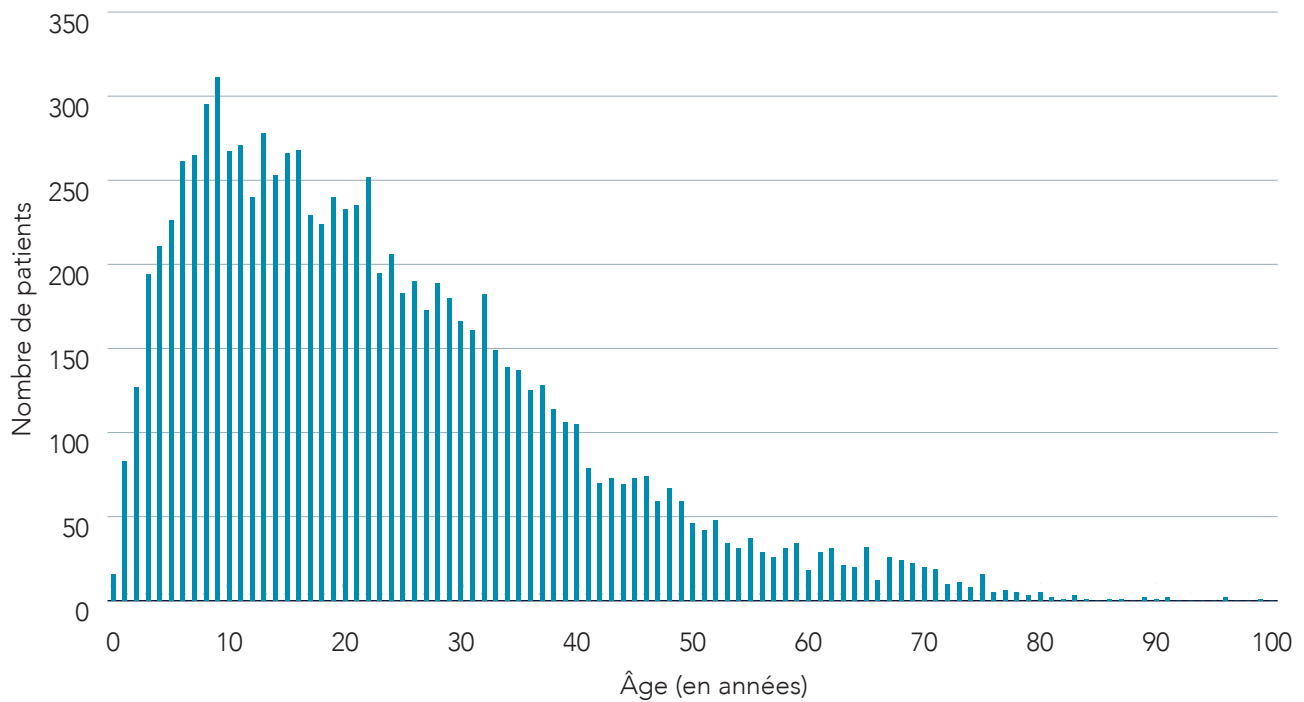
* 43 PAH présentaient une hémophilie de type inconnu et ont été exclues de la série.

ÂGE DES PAH INSCRITES AU RMTC

L'âge médian des participants est de 20 ans, et s'étend de 1 mois à 99 ans (cf. figure 6). Les adultes (≥ 18 ans) constituent 57 % ($n=5\,353$) et les enfants (<18 ans) constituent 43 % ($n=4\,061$) de la totalité des participants.

Figure 6

Répartition par âge des PAH au sein du RMTC



RATIO ENFANTS ADULTES



43%

ENFANTS

:

57%

ADULTES



DIAGNOSTIC ET ANTÉCÉDENTS CLINIQUES

TABLEAU 3a

Résumé des diagnostics et antécédents cliniques

	Ensemble des PAH (n=9 414)	Formes sévères (n=4 686)
Âge médian (IQR) au moment du diagnostic, en mois	36 (10-125)	19 (7-82)
Âge au moment du diagnostic par tranche d'âge, n (%)		
0-11 mois	2 685 (29%)	1 785 (38%)
1-4 ans	2 834 (30%)	1 443 (31%)
5-17 ans	2 350 (25%)	913 (19%)
18-44 ans	1 199 (13%)	438 (9%)
45 ans et +	197 (2%)	41 (1%)
Âge inconnu	149 (2%)	66 (1%)

TABLEAU 3b

PAH nouvellement diagnostiquées en 2021, n (%)	270 (3%)	79 (2%)
Âge médian (IQR) au premier saignement*, en mois	12 (6-36)	9 (6-24)
Âge médian (IQR) au premier saignement artériel**, en mois	24 (12-60)	24 (12-48)

* Sur la base de 7 849 PAH présentant des données sur le premier saignement.

** Sur la base de 6 425 PAH présentant des données sur le premier saignement artériel.

ÂGE AU MOMENT DU DIAGNOSTIC

L'âge médian (IQR) au diagnostic était de 36 mois (10-125) pour toutes les PAH, et de 19 mois (7-82) pour les PAH présentant une forme sévère (cf. tableau 3a). Sur la totalité des PAH, l'âge médian du diagnostic par région s'étendait de 8 mois pour les Amériques à 55 mois pour l'Asie du Sud-Est (cf. figure 7). Dans le cas des personnes présentant une forme sévère, l'âge le plus élevé au moment du diagnostic était en Afrique avec 47 mois, et le plus faible à nouveau pour les Amériques avec 8 mois (figure 7). L'âge au diagnostic décroît à mesure que le RNB s'accroît : il passe de 48 mois dans les pays à revenu faible et intermédiaire de la tranche inférieure à 22 mois dans les pays à revenu élevé pour toutes les PAH; on observe une tendance similaire chez les PAH atteintes de formes sévères avec 30 et 10 mois (cf. figure 8).

Il y a eu 270 PAH nouvellement diagnostiquées en 2021, dont 79 atteintes d'une forme sévère.

29% du total des PAH et 38% de celles atteintes d'une forme sévère ont été diagnostiquées avant leurs 12 mois. 59% du total des PAH et 69% de celles présentant une forme sévère ont été diagnostiquées avant leurs 5 ans (cf. tableau 3a et figure 9)

36

MOIS
ÂGE MÉDIAN AU
DIAGNOSTIC

19

MOIS
ÂGE MÉDIAN AU
DIAGNOSTIC
DES FORMES SÉVÈRES

Figure 7

Âge au moment du diagnostic par région

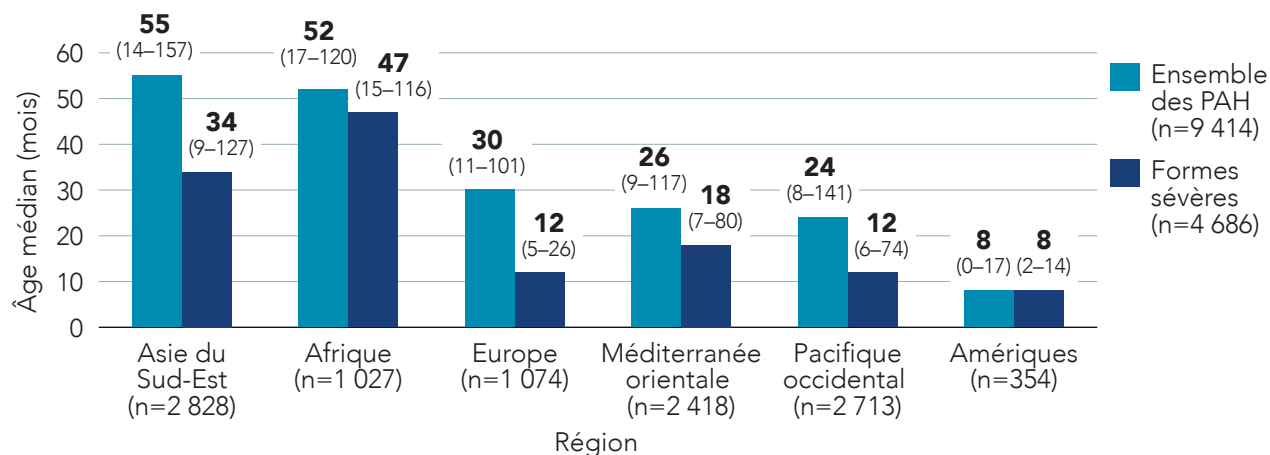
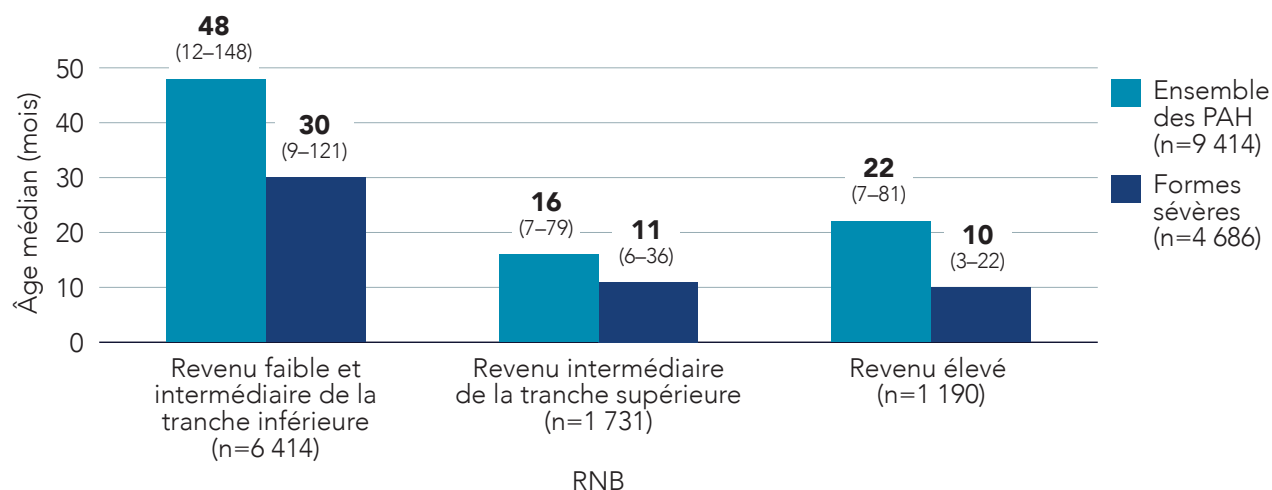


Figure 8

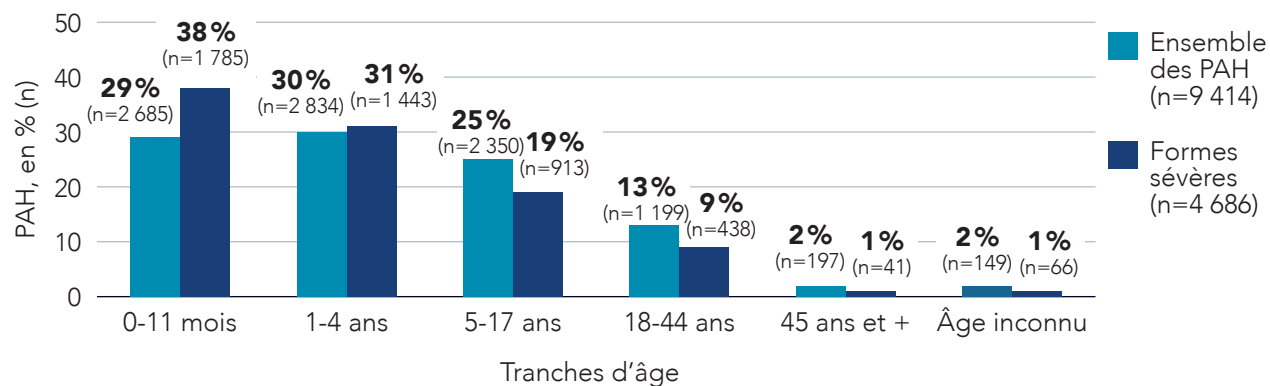
Âge au moment du diagnostic par revenu national brut



N.B. : Les catégories faible revenu (n=295) et revenu intermédiaire de la tranche inférieure (n=6 918) ont été regroupées à cause du faible nombre de patients dans les pays à faible revenu.

Figure 9

Répartition par âge des PAH au moment du diagnostic, en % (n)



ÂGE AU PREMIER SAIGNEMENT ET AU PREMIER SAIGNEMENT ARTICULAIRE

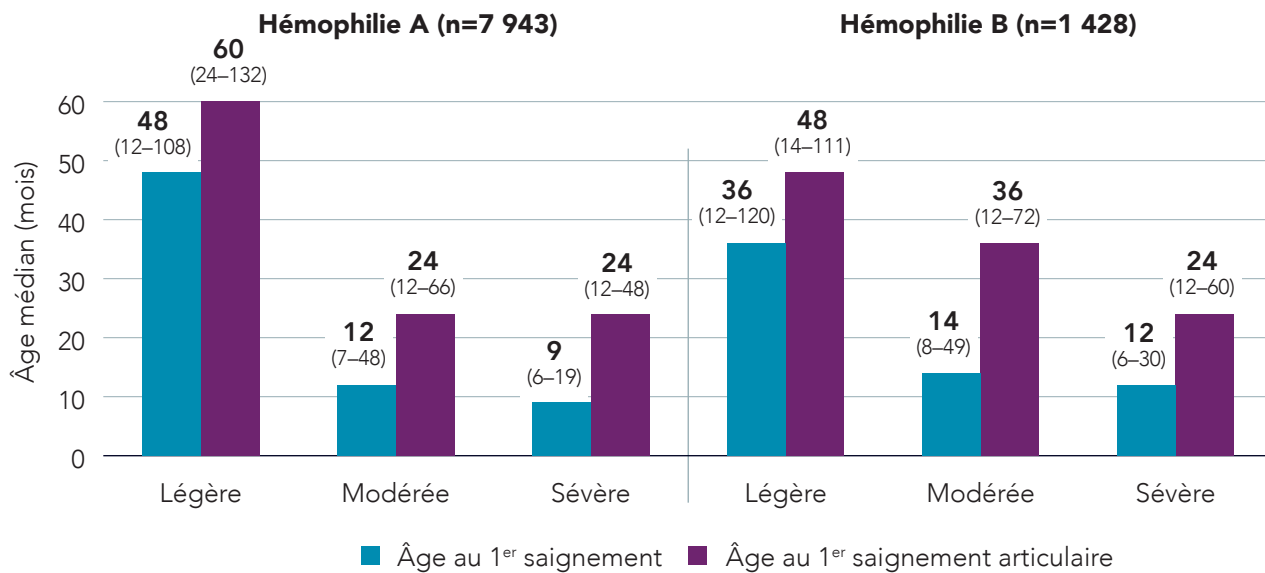
L'âge médian au premier saignement et au premier saignement articulaire est respectivement de 12 et 14 mois pour l'ensemble des PAH (cf. tableau 3b et figure 10).

Chez les personnes atteintes d'hémophilie A sévère, l'âge médian au premier saignement est de 9 mois, et de 24 mois au premier saignement articulaire (cf. figure 10).

Chez les personnes atteintes d'hémophilie B sévère, l'âge médian au premier saignement est de 12 mois, et de 24 mois au premier saignement articulaire (cf. figure 10).

Figure 10

Âge médian (IQR) au premier saignement et au premier saignement articulaire par sévérité, hémophilie A et B, en mois



COMORBIDITÉS

Les données recueillies sur les comorbidités ne sont pas contenues dans des champs obligatoires. Il a été rapporté que 4 097 PAH ont été dépistées pour le VIH. Sur ces PAH, 50 (<1 %) ont présenté un résultat positif et parmi elles, 43 (2 %) étaient des personnes atteintes d'hémophilie sévère (tableau 4). En ce qui concerne le virus de l'hépatite C (VHC), 4 800 PAH ont été testées selon les données dont nous disposons. Parmi elles, 456 (10 %) présentaient une infection active.

TABLEAU 4
Statut VIH

	Ensemble des PAH (n=9 414)	Formes sévères (n=4 686)
Patients testés*, n	4 097	2 470
Positifs, n (%)	50 (<1 %)	43 (2 %)
Négatifs, n (%)	4 047 (99 %)	2 427 (98 %)

* Y compris les PAH ayant rapporté au moins 1 test positif.

TABLEAU 5
Statut VHC

	Ensemble des PAH (n=9 414)	Formes sévères (n=4 686)
Patients testés*, n	4 800	2 741
Infection active, n (%)	456 (10 %)	312 (11 %)
Infection résolue spontanément, n (%)	105 (2 %)	81 (3 %)
Infection résolue par traitement, n (%)	158 (3 %)	123 (5 %)
Aucune infection, n (%)	4 081 (85 %)	2 225 (81 %)

* Dans le cas où plus d'un test a été effectué en un an, c'est le dernier résultat qui a été pris en compte dans ce résumé.

EMPLOI

Sur les 6 012 PAH ayant renseigné leur situation d'emploi, 23 % étaient employées à temps plein ou partiel. L'hémophilie affectait l'emploi de 12 % des PAH, les contraignant à des emplois à temps partiel, à des congés longue maladie, à être sans emploi ou à avoir pris leur retraite (tableau 6).

TABLEAU 6

Emploi

	Ensemble des PAH (n=6 012)	Formes sévères (n=3 113)
Situation d'emploi rapportée		
Employée à temps plein ou partiel	1 397 (23 %)	669 (21 %)
Employée à temps partiel à cause de l'hémophilie	292 (5 %)	163 (5 %)
En congé longue maladie à cause de l'hémophilie	45 (1 %)	26 (1 %)
Sans emploi à cause de l'hémophilie	284 (5 %)	185 (6 %)
Retraitée à cause de l'hémophilie	37 (1 %)	18 (1 %)
Étudiante	3 006 (50 %)	1 534 (49 %)
Autre	951 (16 %)	518 (17 %)



12% DES PAH
RAPPORTENT QUE LEUR
SITUATION D'EMPLOI EST
NÉGATIVEMENT AFFECTÉE
PAR L'HÉMOPHILIE

DONNÉES CLINIQUES

LES DONNÉES CLINIQUES REPRÉSENTENT DES ÉVÉNEMENTS CLINIQUES QUI SE SONT PRODUITS EN 2021.

TABLEAU 7

Résumé des saignements, 2021

	Ensemble des PAH* (n=8 578)	Formes sévères (n=4 383)
Moyenne des saignements par patient (ET)	5,4 (8,7)	6,4 (9,3)
Patient n'ayant présenté aucun saignement en 2021, n (%)	814 (9%)	401 (9%)
Articulations cibles**, n (%)		
≥ 1	1 148 (13%)	636 (15%)
Total des saignements[§], n	19 366	12 170
Localisation du saignement, n (%)		
Articulation	14 553 (75%)	9 258 (76%)
Muscle	2 769 (14%)	1 734 (14%)
Système nerveux central	65 (<1%)	34 (<1%)
Autre localisation	2 157 (11%)	1 307 (11%)

* Les données 2021 de 836 PAH de République tchèque n'étaient pas disponibles au moment de la publication.

** Y compris les PAH ayant rapporté au moins un saignement articulaire en 2021 ; on définit une articulation cible de la façon suivante : « articulation présentant trois saignements ou plus au cours d'une période de 6 mois consécutifs. Si le nombre de saignements est inférieur ou égal à 2 pendant 12 mois consécutifs, l'articulation en question n'est plus considérée comme articulation cible »³.

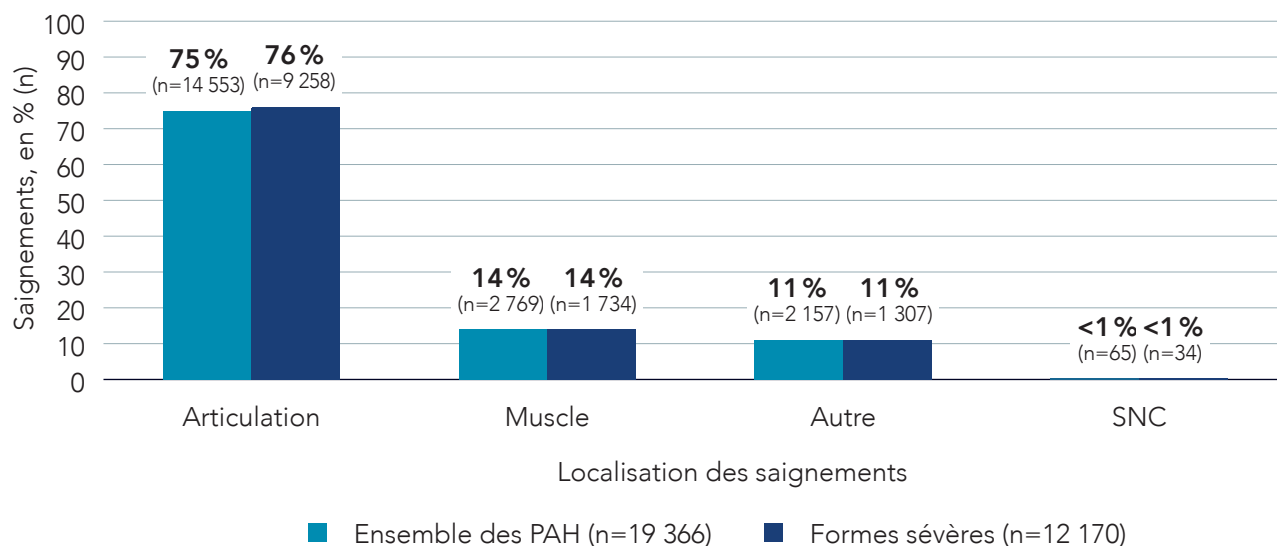
[§] Il est possible que les PAH aient présenté des saignements en plusieurs endroits.

SAIGNEMENTS

En 2021, les PAH ont rapporté un total de 19 366 saignements. Parmi eux, 14 553 (75%) étaient des saignements articulaires, 2 769 (14%) des saignements musculaires et 65 (< 1%) des saignements du système nerveux central (SNC). 2 157 (11%) saignements ont été décrits comme s'étant produits à « un autre endroit » (cf. figure 11). Un total de 12 170 saignements a été rapporté chez les personnes atteintes d'hémophilie sévère. La répartition des saignements par localisation chez les personnes atteintes d'hémophilie sévère était similaire à celle de l'ensemble des PAH (cf. figure 11).

Figure 11

Localisation des saignements, en % (n)



TAUX DE SAIGNEMENTS ANNUALISÉ ET TAUX DE SAIGNEMENTS ANNUALISÉ ARTICULAIRE

Le taux de saignements annualisé (TSA) et le taux de saignements annualisé articulaire (TSAA) ont été calculés en annualisant respectivement le nombre de saignements et de saignements articulaires. Le TSA et le TSAA ont été calculés sur la base du nombre total de saignements rapportés au cours des visites consultations en 2021, divisé par la période d'observation en jours; le résultat a été annualisé séparément pour chacun des deux taux. Le calcul utilisé est le suivant : (nombres de saignements/durée de la période d'observation en jours) x 365,25. Seules des périodes d'observation supérieures à 30 jours ont été prises en compte. Dans les cas où le patient n'avait pas eu de consultation en 2021 ou bien où la période d'observation était inférieure à 30 jours, le TSA et le TSAA n'ont pas été calculés. Les calculs de ces taux ne comprennent que les PAH ayant connu respectivement au moins un saignement ou au moins un saignement articulaire en 2021. Les patients n'ayant connu aucun saignement en 2021 ont été exclus des calculs. On estime que les patients n'ayant présenté aucun saignement sur un an reçoivent le traitement nécessaire à la prévention des saignements. Cela permet une analyse en profondeur des besoins en matière de soins lorsque l'on observe le TSA et le TSAA par catégorie ou région.

TSA

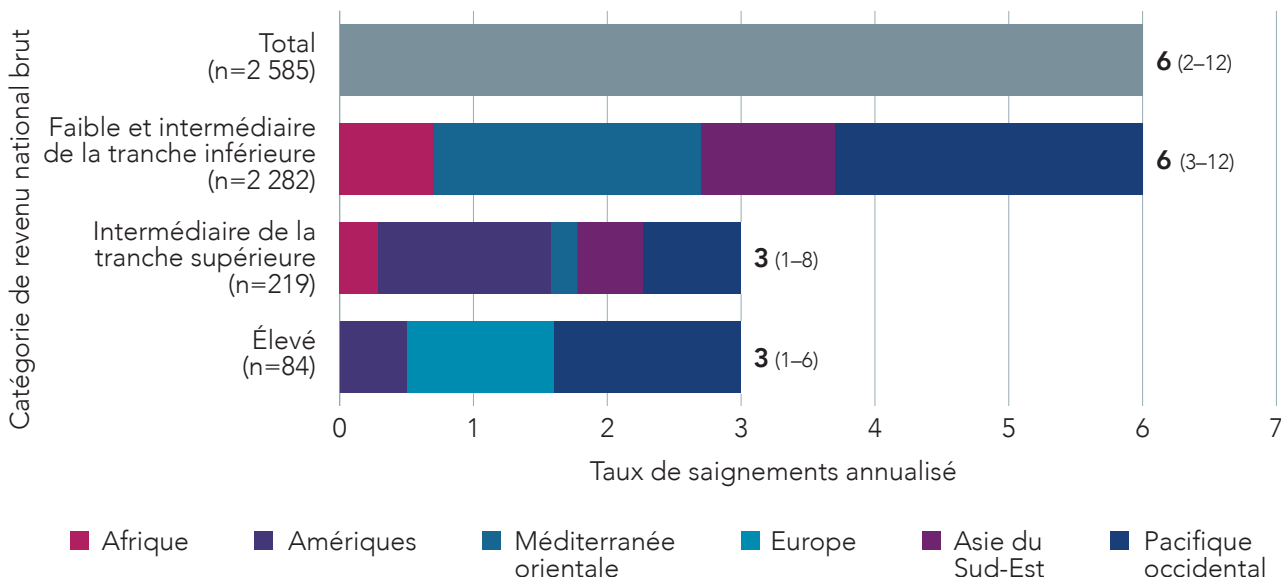
Le TSA médian (IQR) était de 6 (2-12) pour l'ensemble des PAH, avec des variations par RNB et région (cf. figure 12). La figure 12 montre que les pays à revenu élevé présentaient le TSA le plus faible, avec 3 (1-6), tandis que les pays à faible revenu ou revenu intermédiaire de la tranche inférieure présentaient le TSA le plus élevé, avec 6 (3-12).

TSAA

Le TSAA médian (IQR) était de 5 (2-10) pour l'ensemble des PAH, avec des variations par RNB et par région (cf. figure 13). On observait dans les pays à faible revenu ou revenu intermédiaire de la tranche inférieure un TSAA de 5 (2-11), contre un TSAA de 3 (1-7) dans les pays à revenu élevé.

Figure 12

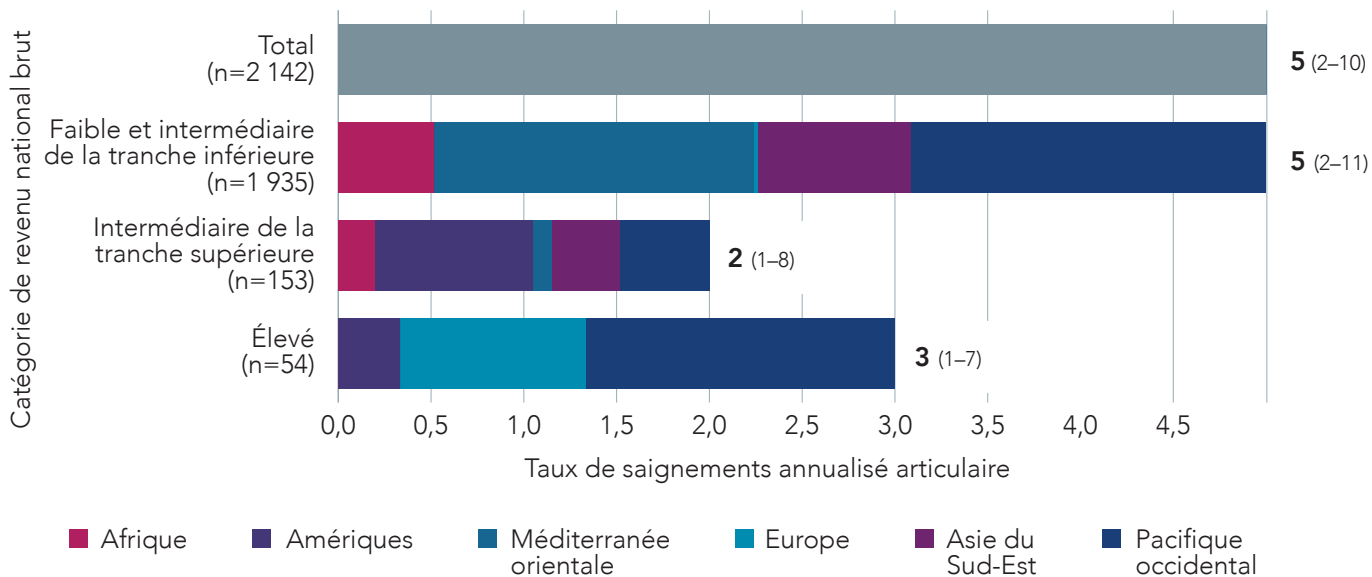
TSA médian pour l'ensemble des PAH, par RNB et région



N.B. : Les catégories faible revenu (n=295) et revenu intermédiaire de la tranche inférieure (n=6 918) ont été regroupées à cause du faible nombre de patients dans les pays à faible revenu.

Figure 13

TSAA médian pour l'ensemble des PAH, par RNB et région



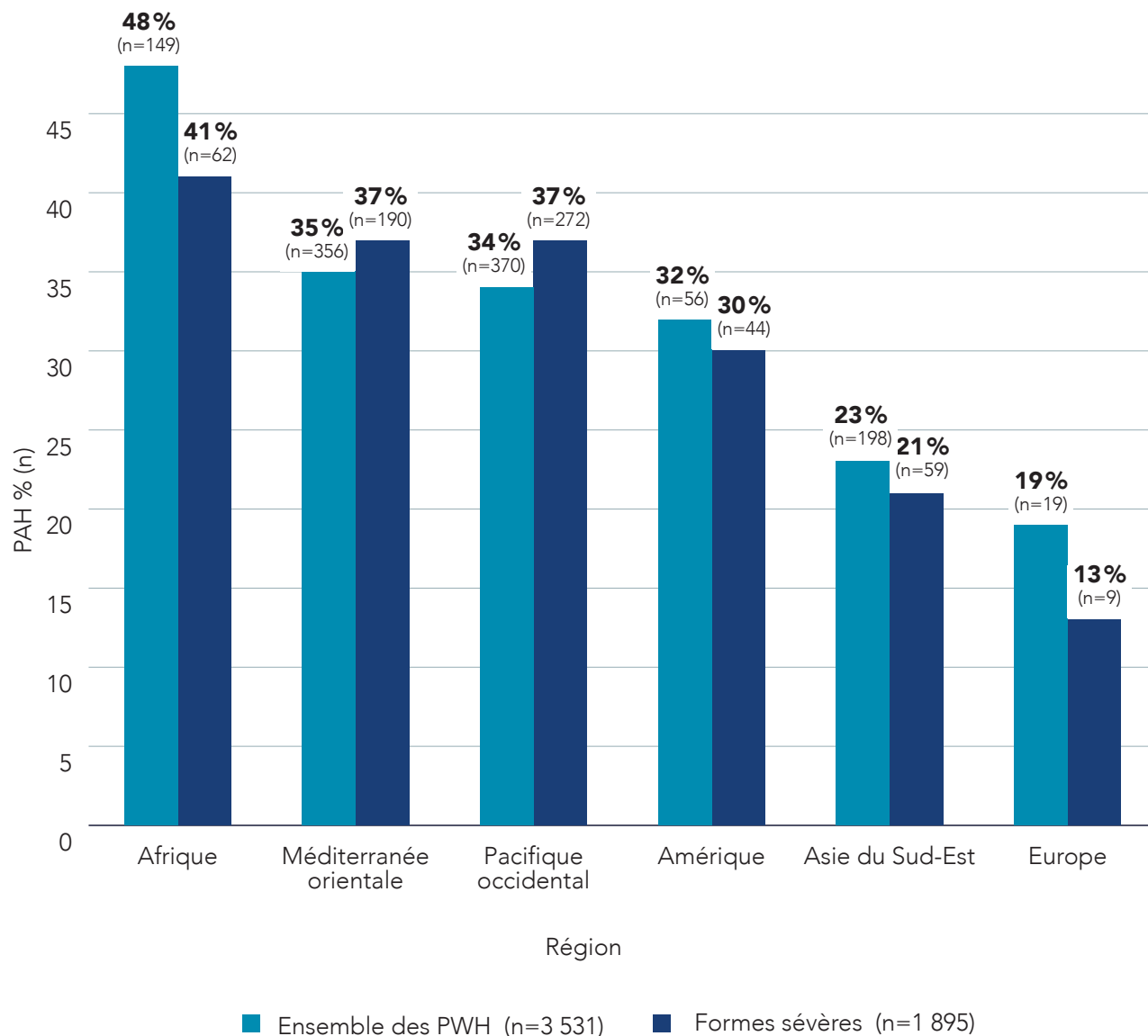
N.B. : Les catégories faible revenu (n=295) et revenu intermédiaire de la tranche inférieure (n=6 918) ont été regroupées à cause du faible nombre de patients dans les pays à faible revenu.

ARTICULATIONS CIBLES

Parmi les personnes ayant eu une consultation à la clinique en 2021, 13% de l'ensemble des PAH et 15% des PAH présentant une forme sévère rapportent avoir au moins une articulation cible. La part des PAH rapportant l'existence d'une articulation cible variait par région, s'étalant de 19 à 48% (cf. figure 14).

Figure 14

PAH présentant au moins 1 articulation cible, par région



INHIBITEURS

TABLEAU 8

Résumé des inhibiteurs, 2021

	Ensemble des PAH (n=8 578)*	Formes sévères (n=4 383)*
Patients avec antécédent d'inhibiteur**, n (%)	411 (5%)	306 (7%)
Test des inhibiteurs en 2021		
Testés†, n (%)	424 (5%)	315 (7%)
Résultat positif au test	106 (25%)	81 (2%)
Résultat négatif au test	318 (75%)	234 (98%)
Nouveau diagnostic d'inhibiteur††, n (%)	48 (11%)	32 (10%)
Patients avec suspicion d'inhibiteur, sans possibilité de test‡, n (%)	37 (<1%)	2 (<1%)

* Les données 2021 de 836 PAH de République tchèque n'étaient pas disponibles au moment de la publication.

** Nombre de patients uniques présentant un inhibiteur avant leur enregistrement dans le RMTTC ou bien ayant effectué un test positif avant 2021.

† Nombre de patients uniques ayant effectué un test en 2021. Les méthodes de test sont les suivantes : Bethesda, Nijmegen-Bethesda, étude de mélange (aPTT).

†† Nombre de patients uniques n'ayant jamais effectué de test d'inhibiteur, ayant été testés en 2021 avec un résultat positif.

‡ Comprend toutes les PAH ayant effectué une consultation de référence en 2021.

Les données sur les tests d'inhibiteur sont recueillies au moment de la consultation de référence (qui couvre les 6 mois précédents) et lors de chacune des consultations de suivi. Dans ce rapport, le nombre de PAH présentant un résultat positif au test d'inhibiteur est défini comme l'ensemble des PAH ayant eu au moins un test d'inhibiteur positif en 2021. En 2021, 424 PAH ont été testées pour recherche d'inhibiteurs; 106 (25%) ont obtenu un résultat positif et 48 (11%) ont reçu un nouveau diagnostic d'inhibiteur – elles n'avaient alors pas d'antécédent d'inhibiteurs ni rapporté de test positif précédent (cf. tableau 8 et figure 15).

Figure 15

PAH testées pour une recherche d'inhibiteur, 2021 (n=424)



HOSPITALISATION

TABLEAU 9a

Résumé des hospitalisations liées à l'hémophilie, 2021

	Ensemble des PAH (n=8 578)*	Formes sévères (n=4 383)*
Patients hospitalisés**, n (%)	881 (10%)	557 (13%)
Total des hospitalisations†, n	3 248	2 292
Nombre médian (IQR) de jours d'hospitalisation	11 (5-23)	13 (6-26)
Nombre médian (IQR) d'hospitalisations par patient§	2 (1-5)	3 (1-5)

TABLEAU 9b

	Ensemble des PAH (n=8 578)*	Formes sévères (n=4 383)*
Motif de l'hospitalisation, n (%)		
Saignement articulaire	2 303 (27%)	1 649 (38%)
Autre saignement	421 (5%)	288 (7%)
Autre saignement musculaire	386 (5%)	295 (7%)
Saignement des tissus mous	110 (1%)	61 (1%)
Autre	72 (<1%)	47 (1%)
Intervention chirurgicale	36 (<1%)	19 (<1%)
Saignement intracrânien	27 (<1%)	12 (<1%)
Saignement musculaire du psoas	13 (<1%)	11 (<1%)
Manifestation thrombo-embolique	1 (<1%)	1 (<1%)

* Les données 2021 de 836 PAH de République tchèque n'étaient pas disponibles au moment de la publication.

** Nombre unique de PAH hospitalisées.

§ Uniquement basé sur les patients hospitalisés.

† On définit l'hospitalisation comme un séjour comprenant au moins une nuit à l'hôpital.

En 2021, 881 (10%) PAH ont connu un total de 3 248 hospitalisations liées à l'hémophilie, avec un séjour médian (IQR) de 11 jours (5-23) (cf. tableau 9a). Le motif d'hospitalisation le plus fréquent était le saignement artériel, à la fois pour les patients atteints d'hémophilie A et ceux atteints d'hémophilie B (respectivement 70 et 61 %) (cf. figures 16 et 17). Au total, 27 hospitalisations ont eu lieu pour un saignement intracrânien, dont 24 (1 %) pour des patients atteints d'hémophilie A et 12 (< 1 %) chez des patients atteints d'hémophilie B. Les PAH dont le type d'hémophilie est indéterminé mais ont été hospitalisées ne sont pas incluses dans les graphiques ci-dessous (cf. figures 16 et 17).

Figure 16

Motif d'hospitalisation des patients atteints d'hémophilie A (n=2 772)

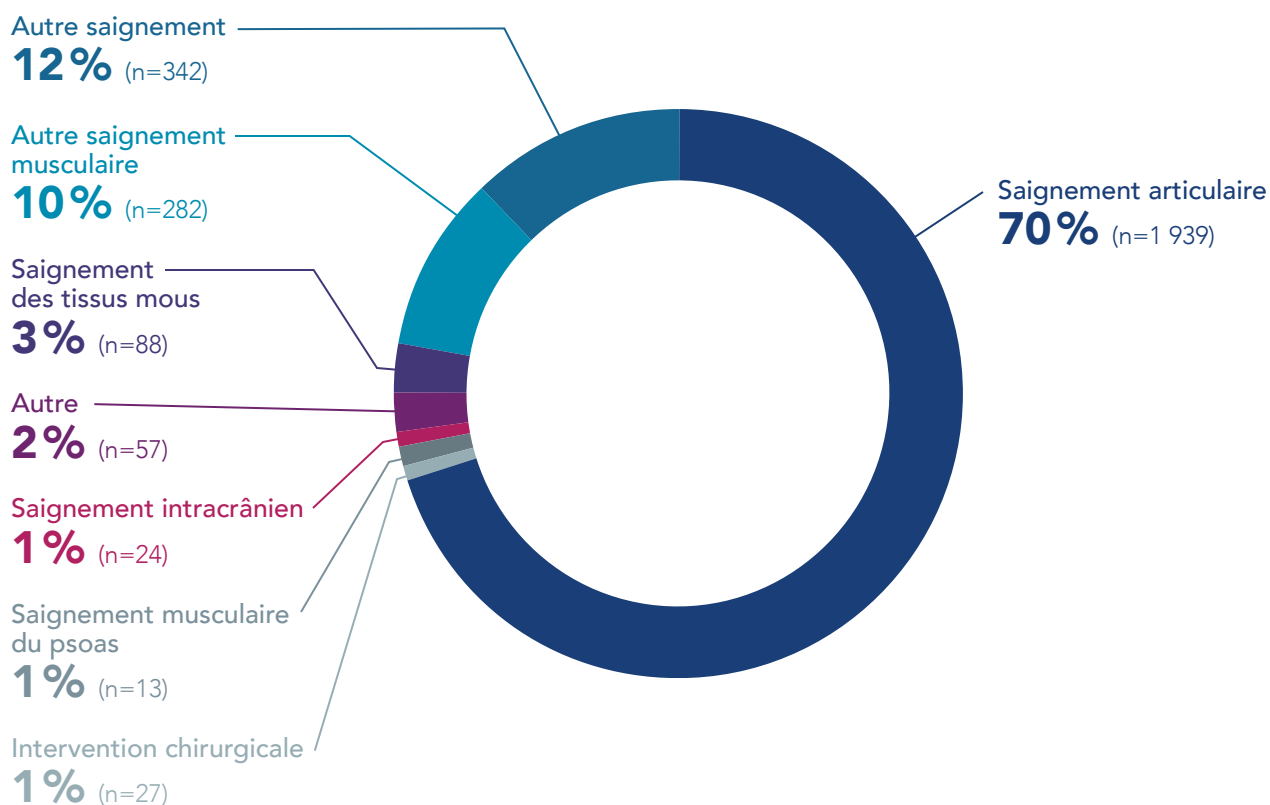
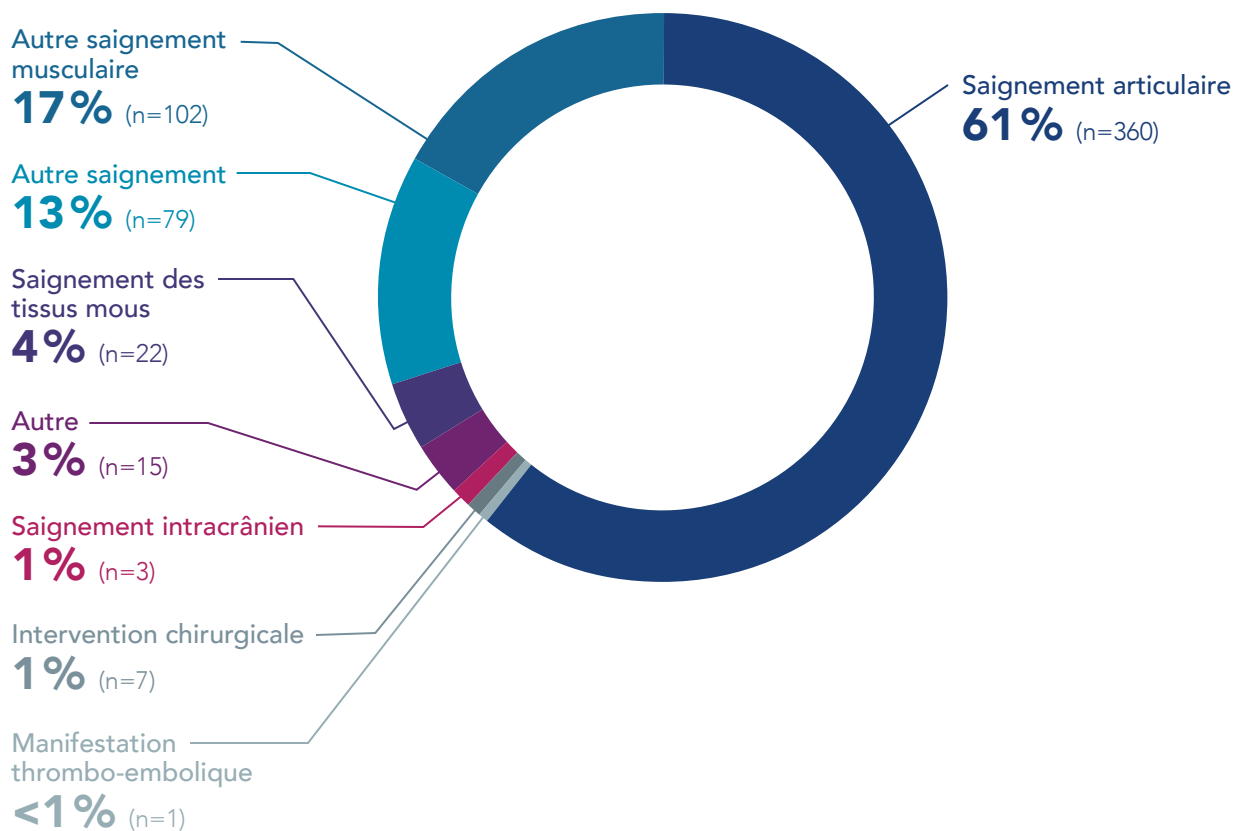


Figure 17

Motif d'hospitalisation des patients atteints d'hémophilie B (n=589)



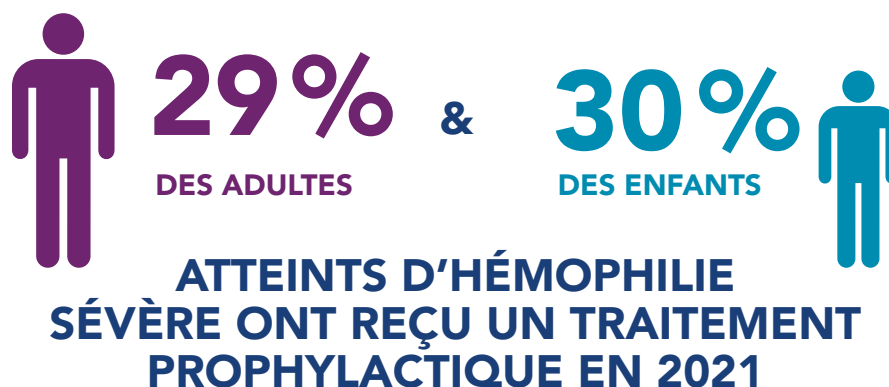
TRAITEMENT

TABLEAU 10

Résumé des traitements, 2021*

	Ensemble des PAH (n=8 578)*	Formes sévères (n=4 383)*
Ayant reçu au moins 1 traitement prophylactique en 2021, n (%)**	1 625 (19%)	1 299 (30%)
Hémophilie A, n (%)	1 431 (17%)	1 159 (27%)
FVIII, demi-vie standard	900 (63%)	745 (64%)
FVIII, demi-vie prolongée	222 (16%)	170 (15%)
Agent de contournement	7 (<1%)	7 (<1%)
Produit sans remplacement de facteur	325 (23%)	255 (22%)
Autre	43 (3%)	32 (3%)
Hémophilie B, n (%)	190 (2%)	140 (3%)
FIX, demi-vie standard	100 (53%)	81 (58%)
FIX, demi-vie prolongée	78 (41%)	52 (37%)
Agent de contournement	1 (<1%)	1 (<1%)
Produit sans remplacement de facteur	0 (0%)	0 (0%)
Autre	18 (9%)	10 (7%)

* Les données 2021 de 836 PAH de République tchèque n'étaient pas disponibles au moment de la publication.
 ** Nombre de PAH uniques ayant reçu un traitement prophylactique en 2021. Il comprend également les patients ayant commencé un traitement prophylactique ou étant sous traitement prophylactique en cours en 2021. Les patients peuvent recevoir des traitements appartenant à plusieurs catégories.



UTILISATION DE LA PROPHYLAXIE

Un total de 1 625 (19%) PAH a reçu un traitement prophylactique en 2021. 30% des PAH atteintes de formes sévères ont reçu un traitement prophylactique en 2021; 90% d'entre elles étaient atteintes d'hémophilie A et 10% d'hémophilie B (cf. tableau 10 et figure 18).

Figure 18

Part des PAH ayant reçu un traitement prophylactique en 2021, par région

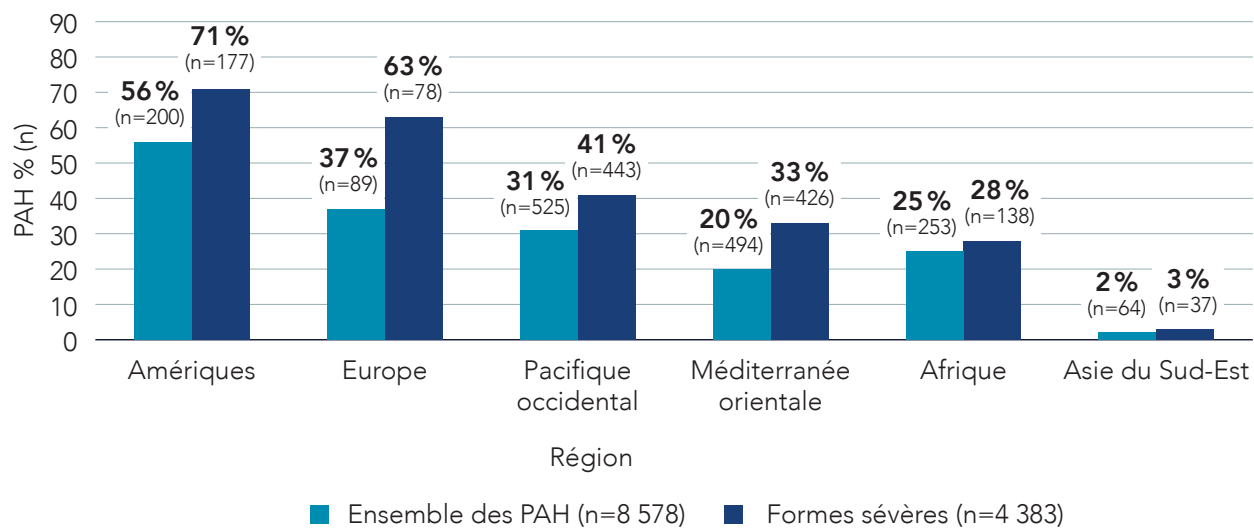
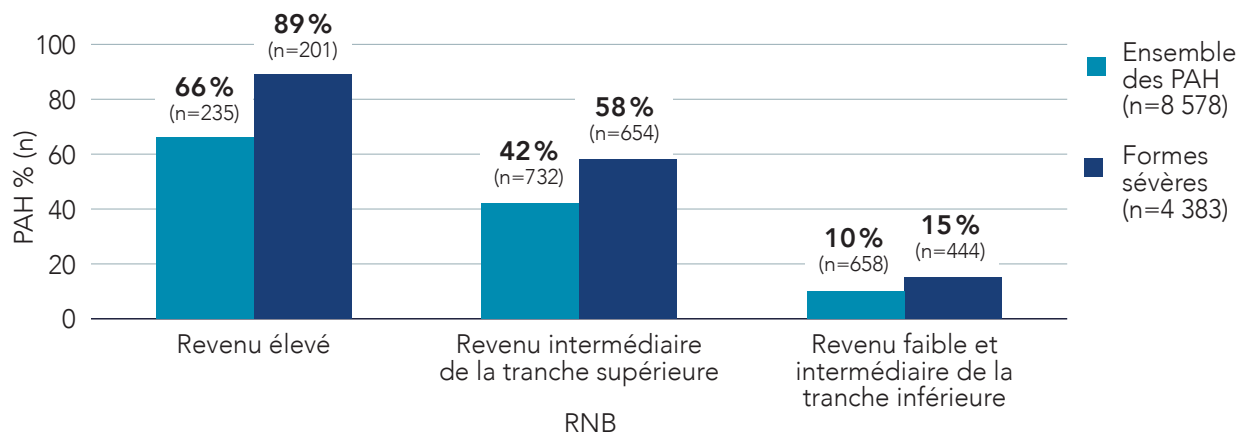


Figure 19

Part des PAH ayant reçu un traitement prophylactique en 2021, par RNB

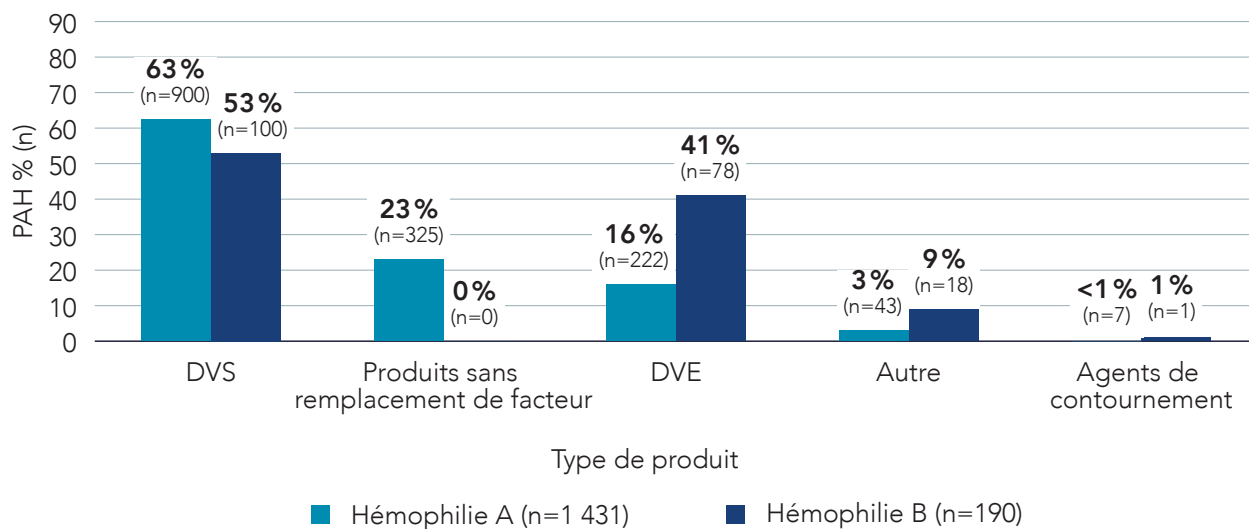


N.B. : Les catégories faible revenu (n=295) et revenu intermédiaire de la tranche inférieure (n=6 918) ont été regroupées à cause du faible nombre de patients dans les pays à faible revenu.

Chez les PAH traitées par prophylaxie, les concentrés de facteur de coagulation à demi-vie standard (DVS) ont été le type de traitement le plus fréquent en 2021 – respectivement 63 % des PAH A et 53 % des PAH B sous prophylaxie – suivis par les concentrés de facteur de coagulation à demi-vie prolongée (DVE), avec 16 % des PAH A et 41 % des PAH B sous prophylaxie. 23 % des personnes atteintes d’hémophilie A ont reçu des traitements par produits sans remplacement de facteur (cf. tableau 10 et figure 20).

Figure 20

Répartition des types de produits chez les PAH sous traitement prophylactique, en %





PROGRAMME D'ACCRÉDITATION DE LA QUALITÉ DES DONNÉES DU RMTC

L'objectif du Programme d'accréditation de la qualité des données (AQD) est la standardisation des procédures entre les CTH, et l'assurance que toutes les données entrées dans le RMTC soient d'excellente qualité. On utilise un processus fiable de validation et de nettoyage des données qui vise à renforcer l'exactitude, l'uniformité et l'exhaustivité des données de la base.

Toutes les données sont évaluées sur deux critères de qualité :

- Exhaustivité : tous les champs doivent être remplis
- Exactitude : toutes les données doivent être valides et uniformes

L'équipe chargée de la qualité des données du RMTC collabore avec l'ensemble des CTH, en dispensant des formations et en faisant des retours sur la qualité des données. Les données incomplètes ou non uniformes sont signalées aux CTH par le biais de formulaires de clarification, leur demandant de mettre à jour les données. Chaque CTH est évalué sur place sur son niveau général de qualité des données, selon les critères du classement de qualité des données du RMTC (figure 21).



63 (80%)
CTH

ONT ATTEINT LE PLUS HAUT NIVEAU DU CLASSEMENT DE LA QUALITÉ DES DONNÉES, ET ONT ÉTÉ **CLASSÉS COMME "LEADERS"**.

(SCORE DE QUALITÉ DES DONNÉES $\geq 95\%$)

Tout au long de l'année, l'équipe du RMTC a fourni des retours sur la qualité des données et des formations à la fois aux CTH existants et nouveaux. En 2021, l'équipe du RMTC a travaillé directement avec 79 CTH. 63 d'entre eux (80%) ont été classés « leaders » (affichant un score de qualité supérieur ou égal à 95%), qui est le plus haut niveau de qualité des données.

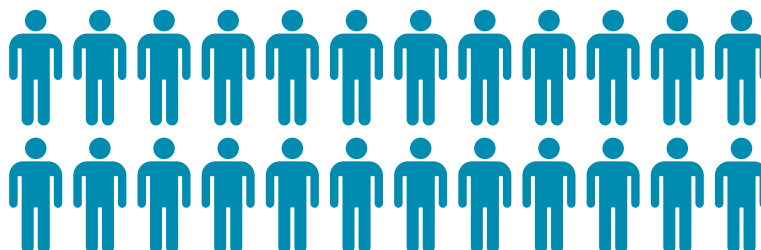
Figure 21

Échelle d'évaluation de la qualité des données du RMTC

LEADERS

score de 95 à 100%

80% (63 CTH)



AVANCÉ

score de 85 à 94%

13% (10 CTH)



INTERMÉDIAIRE

score de 75 à 84%

5% (4 CTH)



DÉVELOPPÉ

score de 50 à 74%

1% (1 CTH)



MINIMUM

score de 0 à 49%

1% (1 CTH)



N.B. : les données importées via le Programme d'intégration des données internationales ne sont pas vérifiées par le Programme d'accréditation de la qualité des données du RMTC.

PROGRAMME D'INTÉGRATION DES DONNÉES INTERNATIONALES

Les registres, grâce à une collaboration internationale entre les pays, offrent une occasion de centraliser suffisamment de données pour améliorer la connaissance et les faits concrets sur les maladies rares dans diverses régions et dans le cadre d'économies différentes. Le Programme d'intégration des données internationales permet de fusionner les ressources provenant des registres sur l'hémophilie existants et d'optimiser l'utilité des données déjà disponibles en facilitant le transfert des données des registres de patients existants au RMTC. Un protocole d'importation des données issues de registres existants dans le RMTC a été développé et testé.

En 2019, le RMTC a débuté une collaboration pour l'intégration de données avec le Registre du programme sur l'hémophilie de République tchèque (CNHPR). Depuis 2019, des données anonymisées provenant du CNHPR sont importées chaque année dans le RMTC. À ce jour, des données de 2018, 2019 et 2020 sur plus de 840 PAH ont été recueillies et mises à jour chaque année; 21 PAH ont été nouvellement inscrites en 2021.

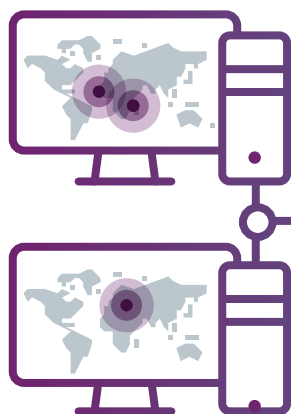
En 2021, le Registre des troubles héréditaires de la coagulation (RTHC) de la Société thaïlandaise d'hématologie (STH) a collaboré avec le RMTC pour intégrer ses données 2020 et 2021 dans le registre mondial. Huit des 10 CTH des hôpitaux universitaires ont participé à cette opération. À la fin 2021, les données minimales et élargies de 300 personnes atteintes d'hémophilie A et B avaient été importées dans le RMTC. Au-delà d'une intégration réussie des données du RHTC au RMTC, le partenariat entre la STH et la FMH a produit un autre résultat : un article dans la revue *Haemophilia*⁴ expliquant le processus d'intégration des données entre les deux registres.

Au moment de la publication du présent rapport, la STH et la FMH envisagent l'expansion de ce projet. Lors de sa phase 2, les deux organisations évalueront la possibilité de transférer directement certaines données du RHTC dans le sondage mondial annuel de la FMH. Actuellement, l'organisation nationale membre de Thaïlande compile toutes les données nécessaires des CTH thaïs et les envoie à la FMH une fois par an. En transférant directement les données, on estime que les données envoyées seront plus fiables, plus précises et qu'elles prendront moins de temps à examiner.

Le Programme d'intégration des données internationales est accessible à tous les pays qui souhaiteraient rejoindre cette initiative mondiale en partageant leurs données nationales, et en permettant à leurs PAH d'être représentées dans le RMTC. Nous encourageons les individus intéressés à contacter la FMH à l'adresse wbd@wfh.org.

REGISTRES NATIONAUX DE L'HÉMOPLILIE

LIEUX MULTIPLES

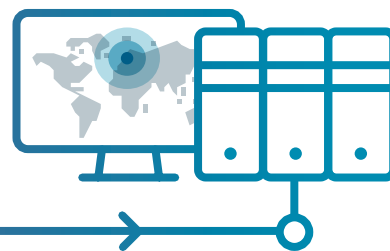


CARTOGRAPHIE DES DONNÉES

- TRANSFORMATION
- INTÉGRATION



RMTC SUÈDE



PROGRAMME DE SOUTIEN À LA RECHERCHE DU RMTC

Le Programme de soutien à la recherche du RMTC vise à proposer des petites bourses de recherche pour encourager l'utilisation des données du RMTC. Ce programme est ouvert à tous les CTH participants.

Félicitations aux sept CTH qui ont reçu en 2021 des financements pour leur projet de recherche. À ce jour, nous avons aidé à financer 30 projets de recherche dans 15 pays différents.

Depuis 2018 :



PAYS

15



PROJETS DE RECHERCHE

30



CTH AYANT PARTICIPÉ

26



SOMME TOTALE
ATTRIBUÉE

> 130 000
USD



PUBLICATIONS DANS DES
CONFÉRENCES INTERNATIONALES
(ABSTRACTS ET ARTICLES DE FOND)

7

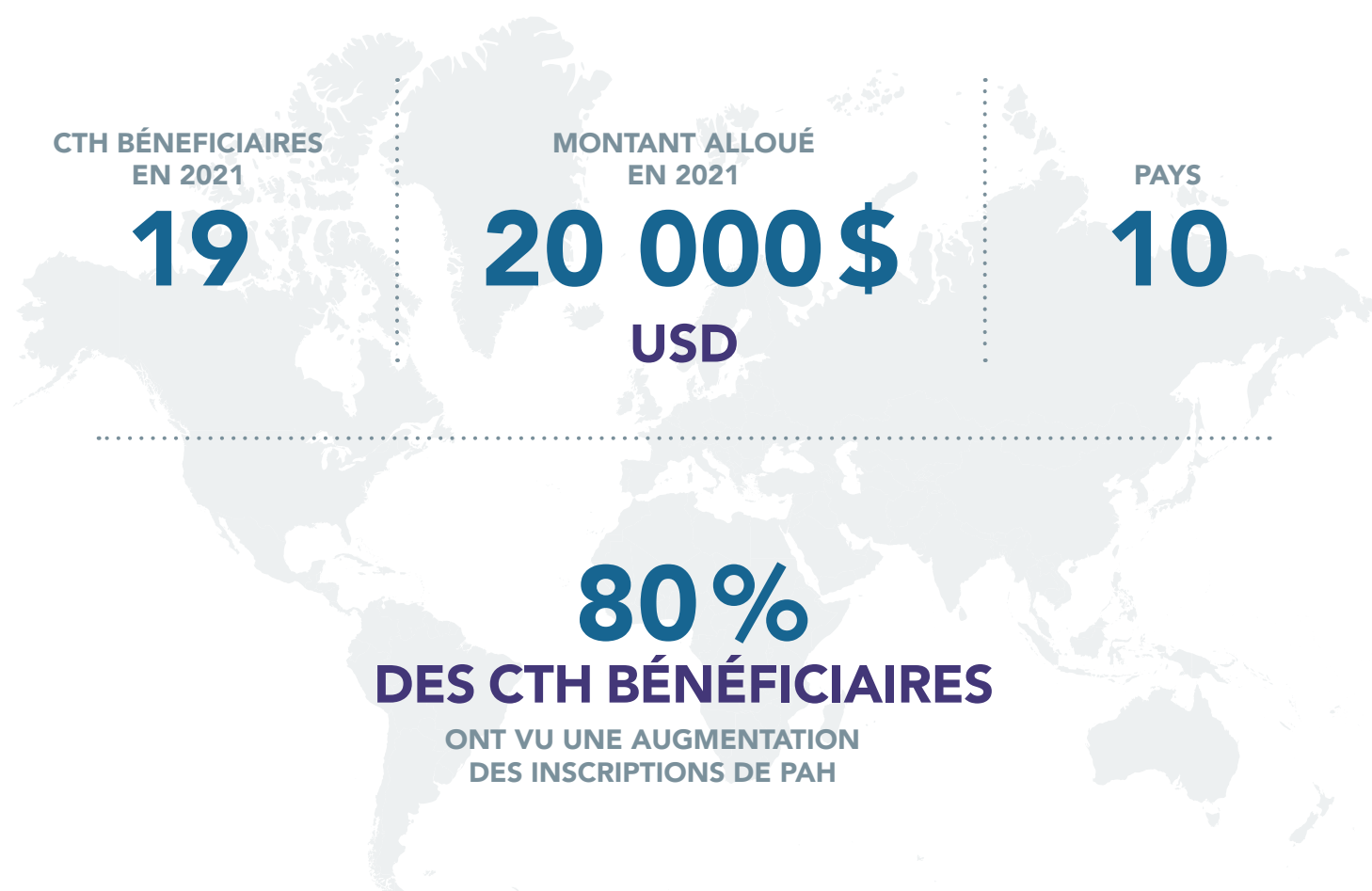
PROGRAMME DE FINANCEMENT DES CTH DU RMTC

Le Programme de financement des CTH du Registre mondial des troubles de la coagulation (RMTC) vise à soutenir financièrement la collecte de données dans les CTH membres du RMTC dans les pays à revenu faible et intermédiaire de la tranche inférieure.

Ce programme est destiné à aider les CTH à renforcer le recrutement des patients, l'enregistrement des consultations de suivi et l'utilisation d'outils d'évaluation des capacités fonctionnelles et de la qualité de vie. Les CTH éligibles reçoivent une compensation basée sur le nombre de patients actifs inscrits dans le RMTC ou sur le nombre de patients atteints d'hémophilie suivis au sein du CTH au moment de la candidature. Les fonds sont alloués pour une période d'un an.

Après la première année de financement, l'impact du programme se démontre par l'amélioration significative du recrutement des patients et de la collecte des données en général. Les CTH bénéficiaires de ce programme ont ainsi recruté 1 080 PAH sur l'année 2021.

Pour en savoir plus, consultez [notre page dédiée](#).



ANNEXE 1 – ENSEMBLE DE DONNÉES

Ensemble de données minimales, ensemble de données élargies

Données démographiques	Diagnostics	Tableau clinique
Date de naissance	Date du diagnostic	Saignements
Genre	Type d'hémophilie	Articulations cibles
Pays de résidence	Sévérité de l'hémophilie	Traitements
Emploi	Niveau de facteur de l'hémophilie	Statut d'inhibiteur
Formation	Antécédents d'inhibiteurs	Hospitalisation
Statut marital	Historique de traitements	Mortalité
	Historique des saignements	Événements indésirables
	Test génétique	Comorbidités
	Groupe sanguin	Évaluation de la capacité fonctionnelle*
	Antécédents familiaux	Évaluation de la qualité de vie**
		COVID-19

Les champs en gras constituent l'ensemble minimal de données.

* L'évaluation de la capacité fonctionnelle comprend : l'outil *Haemophilia Joint Health Score*, les maladies articulaires, l'amplitude des mouvements, le score de Gilbert de la FMH, et le *Functional Independence Score for Haemophilia*.

** évaluation de la qualité de vie : EQ-5D-5L.

ANNEXE 2 – CTH PARTICIPANTS

Pays	Ville - Clinique
Afrique du Sud	• Bloemfontein - University of the Free State
Algérie	• Annaba - Service d'hématologie CHU Annaba • Constantine - Unité hémophilie et maladies hémorragiques héréditaires
Argentine	• Bahía Blanca - CARDHE • Buenos Aires - Fundación de la Hemofilia et Instituto De Investigaciones Hematológicas "Dr. Mariano R. Castex"
Bangladesh	• Chittagong - Chittagong Medical College Hospital • Dhaka - Bangabandhu Sheikh Mujib Medical University • Dhaka - Dhaka Medical College • Dhaka - Lab One Foundation • Rajshahi - Rajshahi Medical College & Hospital
Barbade (La)	• Bridgetown - Queen Elizabeth Hospital
Belgique	• Woluwe-Saint-Lambert - Cliniques Universitaires Saint-Luc
Cameroun	• Yaoundé - CHU de Yaoundé
Côte d'Ivoire	• Abidjan - CHU de Yopougon
Cuba	• La Havane - Instituto de Hematología Inmunología
Égypte	• Cairo - Pediatric Hemophilia Centre, Ain Shams University • Giza - Shabrawishi Hospital • Mansoura - Mansoura University Children Hospital • Zagazig - Pediatrics department, Zagazig University
États-Unis	• Cincinnati - University of Cincinnati Hemophilia Treatment Center • Winston-Salem - Wake Forest Baptist Health
Éthiopie	• Addis Abeba - Tikur Anbessa Hospital
Ghana	• Kumasi - Komfo Anokye Teaching Hospital
Inde	• Aluva - Haemophilia Treatment Centre, District Hospital • Bhopal - Gandhi Medical College • Ludhiana - Christian Medical College • Manipal - Melaka Manipal Medical College, Hemophilia Society Manipal • Tiruvalla - Believers Church Medical College Hospital
Indonésie	• Banjarmasin - Ulin General Hospital
Iraq	• Baghdad - Hemophilia Center - Medical City • Baghdad - National Center of Hematology - Al-Mustansirya University • Basra - Basra Center for hereditary Blood Diseases
Japon	• Tokyo - Ogikubo Hospital
Kenya	• Eldoret - Moi Teaching and Referral Hospital • Nairobi - Kenyatta National Hospital
Kirghizistan	• Bishkek - National Center for Maternity and Childhood • Bishkek - National Center of Oncology and Hematology • Osh - Adult Hematology - Osh Interregional Joint Clinical Hospital • Osh - Dept of Pediatric Hematology - Interregional Children's Clinical Hospital
Madagascar	• Antananarivo - CHU Joseph Ravoahangy Andrianavalona (HJRA)
Malaisie	• Alor Setar - Hospital Sultanah Bahiyah • Ampang - Hospital Ampang • George Town - Hospital Pulau Pinang • Johor Bahru - Hospital Sultan Ismail • Johor Bahru - Hospital Sultanah Aminah

Country	City-Clinic
Malaisie (suite)	<ul style="list-style-type: none"> • Klang - Hospital Tengku Ampuan Rahimah • Kota Bharu - Hospital Raja Perempuan Zainab II • Kota Kinabalu - Hospital Queen Elizabeth • Kota Kinabalu - Hospital Wanita dan Kanak-Kanak Sabah • Kuala Terengganu - Hospital Sultanah Nur Zahirah • Kuching - Hospital Umum Sarawak • Seremban - Hospital Tuanku Ja'afar
Malawi	<ul style="list-style-type: none"> • Taiping - Hospital Taiping • Lilongwe - Kamuzu Central Hospital
Maroc	<ul style="list-style-type: none"> • Rabat - Adultes - Centre de Référence de l'Hémophilie, Hôpital Ibn Sina • Rabat - Enfants - Centre de Traitement de l'hémophilie de Rabat, Hôpital d'Enfants de Rabat
Népal	<ul style="list-style-type: none"> • Katmandou - Civil Service Hospital
Nigéria	<ul style="list-style-type: none"> • Abuja - National Hospital, Abuja • Benin - University of Benin Teaching Hospital • Enugu State - South East HTC, Department of Haematology, UNTH Ituku Ozalla Enugu • Gombe - Gombe State University • Ibadan - University of Ibadan • Kano - Aminu Kano Teaching Hospital • Lagos - Lagos University Teaching Hospital
Nouvelle-Zélande	<ul style="list-style-type: none"> • Christchurch - Christchurch Hospital • Palmerston North - Palmerston North hospital
Ouganda	<ul style="list-style-type: none"> • Kampala - Mulago Hospital
Pakistan	<ul style="list-style-type: none"> • Karachi - Haemophilia Welfare Society, Karachi • Lahore - Haemophilia Treatment Centre • Rawalpindi - Haemophilia Treatment Centre
Panama	<ul style="list-style-type: none"> • Panamá City - Hospital del Niño
Philippines	<ul style="list-style-type: none"> • Manila - University of Santo Tomas Hospital
Portugal	<ul style="list-style-type: none"> • Lisbonne - Comprehensive Care Centre of Congenital Coagulopathies, Santa Maria Hospital
République tchèque	<ul style="list-style-type: none"> • Brno : FN Brno - DN (Oddělení dětské hematologie) • Brno : FN Brno - OKH • České Budějovice : Nemocnice - Dětské oddělení • České Budějovice : Nemocnice - OKH • Hradec Králové : FNHK - Dětská klinika • Hradec Králové : FNHK - IV. interní hematologická klinika • Liberec : KN Liberec - OKH • Olomouc : FN Olomouc - Dětská klinika • Olomouc : FN Olomouc - Hemato-onkologická klinika • Ostrava : FN Ostrava - Klinika dětského lékařství • Ostrava : FN Ostrava - Krevní centrum • Plzeň : FN Plzeň - Dětská klinika • Plzeň : FN Plzeň - ÚKBH • Plzeň : Městská poliklinika - Hemacentrum • Praha : FN Motol - Klinika dětské hematologie a onkologie • Ústí n.L. : Masarykova nemocnice - Dětská klinika (hematologie) • Ústí n.L. : Masarykova nemocnice - OKH
Sénégal	<ul style="list-style-type: none"> • Dakar - Centre National de Transfusion Sanguine
Serbie	<ul style="list-style-type: none"> • Belgrade - Mother and Child Health Care Institute of Serbia "Dr Vukan Cupic"
Soudan	<ul style="list-style-type: none"> • Khartoum - Haemophilia Center, Khartoum Teaching Hospital
Thaïlande	<ul style="list-style-type: none"> • Bangkok - Department of medicine, Siriraj Hospital • Bangkok - Department of medicine, Thammasat University • Bangkok - Department of paediatrics, Chulalongkorn University • Bangkok - Department of paediatrics, Ramathibodi Hospital • Bangkok - Department of paediatrics, Thammasat University • Chiang Mai - Chiang Mai University Hospital • Nakohn Ratchasima - Department of paediatrics, Maharat Nakohn Ratchasima Hospital • Songkla - Department of paediatrics, Prince of Songkla University
Vietnam	<ul style="list-style-type: none"> • Hanoi - National Children's Hospital • Hanoi - National Institute of Hematology and Blood Transfusion • Ho Chi Minh Ville - Blood Transfusion Hematology

MERCI AUX PAH

Un grand merci à chacune des PAH inscrite au RMTC qui a gracieusement accepté de partager ses données : vous nous aidez à améliorer la qualité des soins aux personnes atteintes d'hémophilie dans le monde entier!

MERCI AUX CTH

Merci à toutes les équipes dévouées des centres de traitement de l'hémophilie, qui travaillent d'arrache-pied pour faire en sorte que leurs données soient conformes aux standards de qualité du RMTC!

MERCI À NOS SPONSORS

La FMH remercie tous les sponsors pour leur généreux soutien financier, qui nous permet de continuer à développer cette initiative majeure.

Le RMTC bénéficie du soutien financier de :

Partenaires visionnaires



Partenaires collaborateurs



GLOSSAIRE

Articulation cible : articulation présentant trois saignements ou plus au cours d'une période de 6 mois consécutifs. Si le nombre de saignements est inférieur ou égal à 2 pendant 12 mois consécutifs, l'articulation en question n'est plus considérée comme articulation cible³.

Centre de traitement de l'hémophilie : centre médical spécialisé proposant diagnostic, traitement et soins des personnes atteintes d'hémophilie ou d'autres troubles héréditaires de la coagulation.

Concentré de facteur : préparation lyophilisée issue du fractionnement de facteurs de coagulation individuels, ou de groupes de facteurs dérivés de dons de sang.

Concentré de facteur à demi-vie prolongée : nouvelle génération de concentrés de facteur recombinant, ce qui prolonge leur demi-vie. La demi-vie est le temps nécessaire pour que le facteur transfusé perde la moitié de sa puissance. Le facteur VIII traditionnel possède une demi-vie de 8 à 12 heures; une demi-vie prolongée d'un facteur est définie par un ratio supérieur à 1,3 fois sa demi-vie traditionnelle.

Concentré de facteur à demi-vie standard : concentré de facteur recombinant traditionnel présentant une demi-vie de 8 à 12 heures.

Cryoprécipité : composé de sang humain préparé à partir de plasma frais. Le cryoprécipité est riche en facteur VIII, en facteur de Willebrand, ainsi qu'en fibrinogène (facteur I). Il ne contient pas de facteur IX.

Hémophilie A : maladie résultant d'une déficience en facteur VIII, aussi appelée hémophilie classique.

Hémophilie B : maladie résultant d'une déficience en facteur IX, aussi appelée maladie de Christmas.

Hémophilie légère : maladie résultant d'un niveau d'activité coagulante du facteur VIII ou du facteur IX supérieure à 5% et inférieure à 40% de l'activité normale dans la circulation sanguine. (Les définitions nationales varient sur la limite supérieure de l'hémophilie légère; elle s'étend de 24 à 50%.)

Hémophilie modérée : maladie résultant d'un niveau d'activité coagulante du facteur VIII ou du facteur IX comprise entre 1 et 5% de l'activité normale dans la circulation sanguine.

Hémophilie sévère : maladie résultant d'un niveau d'activité coagulante du facteur VIII ou du facteur IX inférieure à 1% dans la circulation sanguine.

Inhibiteurs : une personne atteinte d'hémophilie présente des inhibiteurs lorsque son système immunitaire attaque les molécules contenues dans le concentré de facteur, le rendant inefficace.

PAH : personne atteinte d'hémophilie.

Produits dérivés du plasma : concentrés de facteur contenant du facteur VIII ou IX issus du fractionnement du sang.

Registre : base de données ou archive des personnes identifiées comme étant atteintes d'hémophilie ou d'un trouble de la coagulation. Un registre comprend des informations sur les coordonnées, le traitement et les complications.

Revenu national brut : revenu national brut (RNB) par tête (en dollars US courants), calculé par la Banque mondiale. Les RNB sont regroupés en quatre groupes de revenus selon la méthode Atlas. Cette classification est mise à jour chaque année, le 1^{er} juillet.

VIH : virus de l'immunodéficience humaine. Il est responsable du sida.

RÉFÉRENCES

¹ Organisation mondiale de la Santé, 2021. Définition des groupes régionaux. <https://www.who.int/about/who-we-are/regional-offices>. Consulté le 10 mars 2021.

² Banque mondiale, 2015. Indicateurs mondiaux de développement 2015. <http://documents.worldbank.org/curated/en/795941468338533334/World-development-indicators-2015>. Consulté le 25 octobre 2018.

³ Blanchette VS, Key NS, Ljung LR, Manco-Johnson MJ, van den Berg HM, Srivastava A; Subcommittee on Factor VIII, Factor IX and Rare Coagulation Disorders of the Scientific and Standardization Committee of the International Society on Thrombosis and Hemostasis. Definitions in hemophilia: communication from the SSC of the ISTH. *J Thromb Haemost*. 2014 Nov;12(11):1935-9.

⁴ Chuansumrit, A., Youttanakorn, W., Sirachainan, N., Natesirinilkul, R. and Ruchutrakool, T. (2022), « Direct transfer of data of people with haemophilia from the Thai Haemophilia Treatment Centre Registry to the World Bleeding Disorders Registry of the World Federation of Hemophilia ». <https://doi.org/10.1111/hae.14496>.

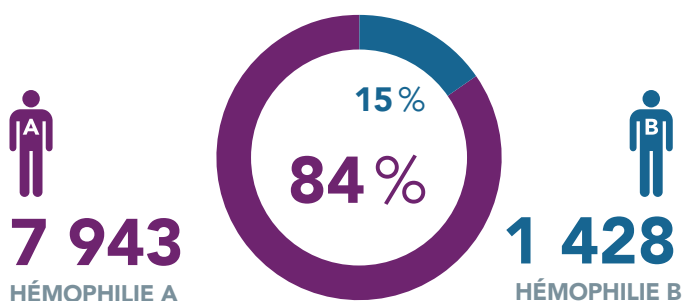
RÉSUMÉ DU RAPPORT SUR LES DONNÉES 2021

104 **37** **9 414**

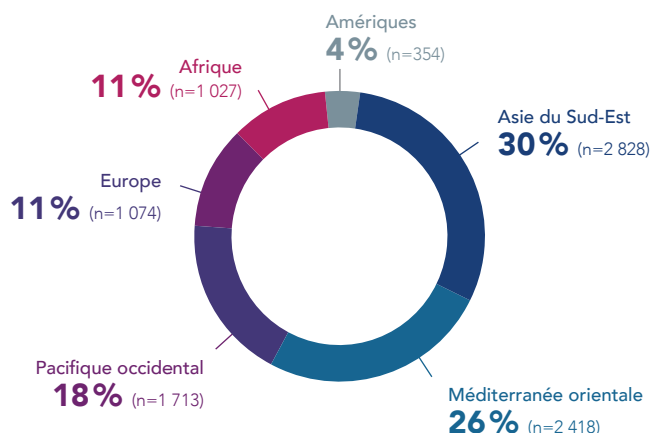
CTH
INSCRITS

PAYS
REPRÉSENTÉS

PATIENTS
INSCRITS



Répartition des PAH par région



Fédération mondiale de l'hémophilie

1425, boulevard René-Lévesque Ouest, Bureau 1200
Montréal (Québec) H3G 1T7, Canada

T +1 514.875.7944 F +1 514.875.8916

wfh@wfh.org

Les sollicitations de dons à l'usage de la FMH et de la FMH États-Unis sur le territoire étatsunien sont conduites par l'intermédiaire de WFH USA, organisation 501(c)3 affiliée.